



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

BP.401.33.2019.MKZ

**Protokół nr 31/2019**  
**z posiedzenia Rady Przejrzystości**  
**w dniu 5 sierpnia 2019 roku**  
**w siedzibie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (Agencji)**

Michał Myśliwiec otworzył posiedzenie o godzinie 10:00

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

1. Barbara Jaworska-Łuczak
2. Tomasz Młynarski
3. Michał Myśliwiec – prowadził posiedzenie
4. Tomasz Pasierski
5. Dariusz Struski
6. Rafał Suwiński
7. Andrzej Śliwczyński

Proponowany porządek obrad:

1. Ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady.
2. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Taltz (ixekizumabum) w ramach programu lekowego: „Leczenie tłuszczycowego zapalenia stawów o przebiegu agresywnym (ŁZS) (ICD-10 L40.5, M07.1, M07.2, M07.3)”.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Xeljanz (tofacitinibum) w ramach programu lekowego: „Leczenie tłuszczycowego zapalenia stawów o przebiegu agresywnym (ŁZS) (ICD-10 L40.5, M07.1, M07.2, M07.3)”.
5. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Keytruda (pembrolizumabum) w ramach programu lekowego: „Leczenie czerniaka skóry lub błon śluzowych (ICD - 10 C43)”.
6. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Prevymis (letermovir) we wskazaniu: profilaktyka infekcji CMV u pacjenta CMV-seropozytywnego (ICD-10:B25.9).
7. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Tarceva (erlotinib) we wskazaniu: III i kolejna linia leczenia gruczolaka płuca (EGFR-dodatni) (ICD-10: C34.8) w populacji pacjentów dorosłych.
8. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Besponsa (inotuzumabum ozogamicini) w ramach programu lekowego: „Leczenie inotuzumabem ozogamicyny dorosłych chorych z nawrotową lub oporną na leczenie ostrą białaczką limfoblastyczną wywodzącą się z komórek



- prekursorowych limfocytów B, z ekspresją antygenu CD22, z lub bez chromosomu Filadelfia (ICD-10: C91.0)”.  
9. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Tecentriq (atezolizumab) we wskazaniu: mięsak pęcherzykowy tkanek miękkich, progresja choroby (ICD-10:C49.2).  
10. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Blincyto (blinatumomab) we wskazaniu: ostra białaczka limfoblastyczny z komórek B typu common Ph- – leczenie choroby resztkowej (ICD-10:C91.0).  
11. Przygotowanie opinii o projektach programów polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego:  
1) „Program profilaktyczny wczesnego wykrywania raka gruczołu krokowego u mężczyzn w wieku 50-75 lat na terenie Powiatu Częstochowskiego w latach 2019-2023”,  
2) „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania boreliozy w populacji osób dorosłych w Gminie Stepnica na lata 2019-2023”,  
3) „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców gminy Żary na lata 2020-2022”,  
4) „Wsparcie rehabilitacyjne dla seniorów (osób przewlekle chorych) mieszkańców Gminy Tarnowo Podgórne na lata 2020-2020”,  
5) „Program zdrowotny szczepień przeciw meningokokom dla dzieci z Gminy Sandomierz na lata 2019-2023”,  
6) „Program polityki zdrowotnej w zakresie profilaktyki zakażeń meningokokowych na lata 2019-2023 w Gminie Jaworze”,  
7) „Fizjoterapia dla Mieszkańców Gminy Kamieńsk”,  
8) „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców gminy Małkinia Górna na lata 2020-2024”,  
9) „Zdrowa jesień – profilaktyczne szczepienia przeciwko grypie mieszkańców Suwałk powyżej 65 roku życia”,  
10) „Program szczepień profilaktycznych przeciwko grypie dla mieszkańców Gminy Dobiegniew w wieku 65 lat i więcej na lata 2020-2024”,  
11) „Gminny program profilaktyki grypy dla mieszkańców Gminy Kołobrzeg w wieku 65 +”,  
12) „Program profilaktyki szczepień przeciwko wirusowi HPV stanowiącego przyczynę raka szyjki macicy w Gminie Nakło nad Notecią”,  
13) „Program profilaktyki zakażeń wirusem brodawczaka ludzkiego (HPV) w Gminie Miejskiej Legionowo na lata 2020-2022”.  
12. Zakończenie posiedzenia.

#### **Przebieg posiedzenia:**

**Ad 1.** Rafał Suwiński zgłosił konflikt interesów w zakresie leku Keytruda, wobec czego Rada jednogłośnie (7 głosów „za”) podjęła decyzję o wyłączeniu go z udziału w pracach Rady w zakresie pkt 5. porządku obrad. Żaden z pozostałych członków Rady nie zgłosił konfliktu interesów.

**Ad 2.** Rada jednogłośnie (7 głosów „za”) zatwierdziła zaproponowany porządek obrad.

Z uwagi na udział eksperta w zakresie 3 i 4 punktu porządku obrad, Rada postanowiła w pierwszej kolejności wysłuchać prezentacji analitycznych oraz propozycji stanowisk do obydwu leków, natomiast dyskusję i głosowania kontynuować po wysłuchaniu eksperta.

**Ad 3.** Analityk Agencji przedstawił prezentację dot. leku Taltz (wniosek refundacyjny) w leczeniu łuszczykowego zapalenia stawów, po czym propozycję stanowiska Rady omówiła Barbara Jaworska-Łuczak.

W trakcie prezentacji, na posiedzenie przybyli Dorota Kilańska oraz Rafał Niżankowski, którzy nie zadeklarowali konfliktu interesów.

**Ad 4.** Analityk Agencji przedstawił prezentację dot. leku Xeljanz (wniosek refundacyjny) w leczeniu łuszczykowego zapalenia stawów, a następnie propozycję stanowiska Rady omówił Andrzej Śliwczyński.

W trakcie prezentacji, na posiedzenie przybył Artur Zaczyński, który nie zadeklarował konfliktu interesów

W związku z oczekiwaniem na przybycie eksperta, Rada postanowiła przejść do procedowania kolejnego punktu porządku obrad.

**Ad 5.** Propozycję stanowiska Rady dotyczącego leku Keytruda w leczeniu czerniaka skóry lub błon śluzowych przedstawił Rafał Niżankowski, natomiast analityk Agencji dopowiedział najważniejsze informacje z raportu.

W dyskusji głos zabrali: Tomasz Pasierski, Rafał Niżankowski oraz Andrzej Śliwczyński, po czym prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 głosów „za”, Rafał Suwiński nie brał udziału w głosowaniu ze względu na zgłoszony konflikt interesów) uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 1 do protokołu).

**c.d. Ad 3 i 4** W związku z przybyciem na posiedzenie eksperta, Rada wróciła do omawiania leków Talz i Xeljanz w leczeniu łuszczykowego zapalenia stawów.

Rada wysłuchiwała stanowiska eksperta, po czym prowadzący zarządził głosowanie.

Rada jednogłośnie (10 głosami „za”) uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 2 do protokołu) w sprawie leku Talz (ixekizumabum) w ramach programu lekowego: „Leczenie łuszczykowego zapalenia stawów o przebiegu agresywnym (ŁZS) (ICD-10 L40.5, M07.1, M07.2, M07.3)”.

Rada jednogłośnie (10 głosów „za”), uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 3 do protokołu) w sprawie leku Xeljanz (tofacitinibum) w ramach programu lekowego: „Leczenie łuszczykowego zapalenia stawów o przebiegu agresywnym (ŁZS) (ICD-10 L40.5, M07.1, M07.2, M07.3)”.

**Ad 6.** Propozycję opinii Rady w sprawie leku Prevymis (RDTL) w profilaktyce infekcji CMV u pacjenta CMV-seropozytywnego omówił Michał Myśliwiec, po czym analityk Agencji przedstawił streszczenie raportu.

Wobec braku innych głosów, prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”), uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 4 do protokołu).

**Ad 7.** Analityk Agencji przedstawił kluczowe informacje z raportu w sprawie leku Tarceva (RDTL) w III i kolejnej linii leczenia gruczolakoraka płuca, a propozycję opinii Rady omówił Rafał Suwiński.

W ramach dyskusji Michał Myśliwiec, Rafał Suwiński i Andrzej Śliwczyński dokonali modyfikacji treści zaproponowanej opinii, po czym prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”), uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 5 do protokołu).

**Ad 8.** Analitik Agencji przedstawił najważniejsze informacje z raportu w sprawie leku Besponsa (wniosek refundacyjny) w leczeniu chorych z nawrotową lub oporną na leczenie ostrą białaczką limfoblastyczną, a propozycję stanowiska Rady omówił Tomasz Pasierski.

W dyskusji i opracowywaniu ostatecznej treści stanowiska udział brali: Michał Myśliwiec, Rafał Suwiński, Tomasz Pasierski, Andrzej Śliwczyński oraz Rafał Niżankowski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 6 głosami „za”, przy 3 głosach „przeciw” (9 osób obecnych, Rafał Niżankowski nie brał udziału w głosowaniu ze względu na chwilową nieobecność na sali), uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 6 do protokołu).

**Ad 9.** Analitik Agencji przedstawił prezentację dot. leku Tecentriq (RDTL) w mięsaku pęcherzykowym tkanek miękkich, po czym propozycję opinii Rady omówił Artur Zaczyński.

W dyskusji głos zabrali: Rafał Suwiński, Artur Zaczyński oraz Michał Myśliwiec, po czym prowadzący zarządził głosowanie. Rada 9 głosami „za”, przy 1 głosie „przeciw” (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 7 do protokołu).

**Ad 10.** Propozycję opinii Rady dot. leku Blincyto (RDTL) w leczeniu ostrej białaczki limfoblastycznej komórek B typu common Ph- choroby resztkowej omówił Artur Zaczyński, a analitik Agencji dopowiedział najważniejsze informacje z raportu.

W dyskusji głos zabrali: Andrzej Śliwczyński, Michał Myśliwiec oraz Artur Zaczyński, po czym prowadzący zarządził głosowanie. Rada jednogłośnie (9 głosów „za”, Barbara Jaworska-Łuczak nie brała udziału w głosowaniu ze względu na chwilową nieobecność na sali), uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 8 do protokołu).

**Ad 11 1)** Analitik Agencji przedstawił kluczowe informacje z raportu w sprawie programu polityki zdrowotnej powiatu częstochowskiego z zakresu wykrywania raka gruczołu krokowego, a propozycję opinii Rady omówił Dariusz Struski.

Wobec braku innych głosów, prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 głosów „za”, Rafał Niżankowski nie brał udziału w głosowaniu ze względu na chwilową nieobecność na sali), uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 9 do protokołu).

**2)** Analitik Agencji przedstawił najważniejsze informacje z raportu dotyczącego programu polityki zdrowotnej gminy Stepnica z zakresu profilaktyki i wczesnego wykrywania boreliozy, a propozycję opinii Rady omówił Dariusz Struski.

Wobec braku innych głosów, prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”), uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 10 do protokołu).

**3)** Analitik Agencji streścił informacje z raportu w sprawie programu polityki zdrowotnej gminy Żary z zakresu rehabilitacji leczniczej, a propozycję opinii Rady omówił Dariusz Struski.

W dyskusji i formułowaniu ostatecznej wersji opinii Rady głos zabrali: Michał Myśliwiec, Andrzej Śliwczyński, Dariusz Struski oraz Dorota Kilańska, po czym prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku

którego Rada 8 głosami „za”, przy 2 głosach „przeciw” (10 osób obecnych), uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 11 do protokołu).

**4)** Analityk Agencji omówił kluczowe informacje z raportu w sprawie programu polityki zdrowotnej gminy Tarnowo Podgórne z zakresu wsparcia rehabilitacyjnego dla seniorów, a propozycję opinii Rady omówił Dariusz Struski.

Wobec braku innych głosów, prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 9 głosami „za”, przy 1 głosie „przeciw” (10 osób obecnych), uchwaliła warunkowo pozytywną opinię (załącznik nr 12 do protokołu).

**5)** Analityk Agencji omówił streszczenie raportu w sprawie programu polityki zdrowotnej gminy Sandomierz z zakresu szczepień przeciwko meningokokom, a propozycję opinii Rady omówiła Dorota Kilańska.

W dyskusji głos zabrali: Rafał Niżankowski, Dariusz Struski oraz Michał Myśliwiec, po czym prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 9 głosami „za”, przy 1 głosie „przeciw” (10 osób obecnych), uchwaliła warunkowo pozytywną opinię (załącznik nr 13 do protokołu).

**6)** Analityk Agencji streścił informacje z raportu w sprawie programu polityki zdrowotnej gminy Jaworze z zakresu profilaktyki zakażeń meningokokowych, a propozycję opinii Rady omówiła Dorota Kilańska.

Wobec braku innych głosów, prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 8 głosami „za”, przy 2 głosach „przeciw” (10 osób obecnych), uchwaliła warunkowo pozytywną opinię (załącznik nr 14 do protokołu).

**7)** Analityk Agencji przedstawił najważniejsze informacje z raportu w sprawie programu polityki zdrowotnej gminy Kamieńsk z zakresu fizjoterapii, a propozycję opinii Rady omówiła Dorota Kilańska.

Wobec braku innych głosów, prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”), uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 15 do protokołu).

**8)** Analityk Agencji przedstawił najważniejsze informacje z raportu w sprawie programu polityki zdrowotnej gminy Małkinia Górna z zakresu rehabilitacji leczniczej, a propozycję opinii Rady omówiła Dorota Kilańska.

Wobec braku innych głosów, prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”), uchwaliła warunkowo pozytywną opinię (załącznik nr 16 do protokołu).

**9)** Analityk Agencji omówił kluczowe informacje z raportu w sprawie programu polityki zdrowotnej mieszkańców Suwałk z zakresu szczepień przeciwko grypie, a propozycję opinii Rady omówił Tomasz Młynarski.

Wobec braku innych głosów, prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”), uchwaliła warunkowo pozytywną opinię (załącznik nr 17 do protokołu).

**10)** Analityk Agencji omówił kluczowe informacje z raportu w sprawie programu polityki zdrowotnej gminy Dobiegniew z zakresu szczepień przeciwko grypie, a propozycję opinii Rady omówił Tomasz Młynarski.

Wobec braku innych głosów, prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”), uchwaliła warunkowo pozytywną opinię (załącznik nr 18 do protokołu).

**11)** Analityk Agencji streścił raport w sprawie programu polityki zdrowotnej gminy Kołobrzeg z zakresu profilaktyki grypy, a propozycję opinii Rady omówił Tomasz Młynarski.

Wobec braku innych głosów, prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”), uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 19 do protokołu).

**12)** Analityk Agencji streścił raport w sprawie programu polityki zdrowotnej gminy Nakło z zakresu szczepień przeciwko wirusowi HPV, a propozycję opinii Rady omówił Tomasz Młynarski.

Wobec braku innych głosów, prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”), uchwaliła warunków pozytywną opinię (załącznik nr 20 do protokołu).

**13)** Analityk Agencji przedstawił najważniejsze informacje z raportu w sprawie programu polityki zdrowotnej gminy miejskiej Legionowo z zakresu zakażeń wirusem brodawczaka ludzkiego HPV, a propozycję opinii Rady omówił Tomasz Młynarski.

W dyskusji głos zabrali Rafał Niżankowski i Michał Myśliwiec, po czym prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”), uchwaliła warunkowo pozytywną opinię (załącznik nr 21 do protokołu).

**Ad 12.** Posiedzenie zakończyło się o godzinie 13:50.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 66/2019 z dnia 5 sierpnia 2019 roku

w sprawie oceny leku Keytruda (pembrolizumab) w ramach programu lekowego „Leczenie czerniaka skóry lub błon śluzowych (ICD-10 C43)”

*Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Keytruda (pembrolizumab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 25 mg/ml, 1 fiol. 4 ml, kod EAN: 5901549325126, w ramach programu lekowego „Leczenie czerniaka skóry lub błon śluzowych (ICD-10 C43)”, z uwagi na istotne zastrzeżenia odnośnie proponowanego przez wnioskodawcę programu lekowego.*

#### Uzasadnienie

##### Problem decyzyjny

*Aktualnie pacjenci z czerniakiem poza leczeniem chirurgicznym są leczeni w ramach programów lekowych:*

- wemurafenibem i kobimetynibem w nieresekcyjnym (stopień III) lub uogólnionym (stopień IV) czerniaku skóry u chorych z potwierdzoną mutacją BRAF V600 - program B.48 „Leczenie czerniaka skóry (ICD-10 C43)”;*
- ipilimumabem, niwolumabem lub pembrolizumabem w czerniaku skóry w stadium zaawansowania III (nieoperacyjny) lub IV (uogólniony) – program B.59 „Leczenie czerniaka skóry lub błon śluzowych (ICD-10 C43)”;*
- terapią skojarzoną dabrafenibem i trametynibem w nieresekcyjnym (stopień III) lub uogólnionym (stopień IV) czerniaku skóry u chorych z potwierdzoną mutacją BRAF V600 (program B.72 „Leczenie czerniaka skojarzoną terapią dabrafenibem i trametynibem (ICD-10 C43)”).*

*Terapia adiuwantowa do chirurgicznej resekcji czerniaka nie jest obecnie w Polsce finansowana. Spośród stosowanych za granicą w tym celu immunoterapeutyków wytyczne międzynarodowe rekomendują: ipilimumab, niwolumab i pembrolizumab, przy czym zalecenia o największej sile (I, A) dotyczą niwolumabu. Pembrolizumab także jest zalecany do leczenia adjuwantowego, jednak siła zaleceń jest nieco mniejsza niż w przypadku niwolumabu (gdyż I, B)*

*W b.r. zarówno Rada Przejrzystości jak i Prezes Agencji uznali za zasadne w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych finansowanych ze środków publicznych leku Keytruda (pembrolizumab) w leczeniu*



uzupełniającym czerniaka po radykalnej resekcji (ICD-10: C43). Należy mieć jednak na uwadze pozytywne opinie Agencji również dla stosowania leku Opdivo (niwolumab) i terapii skojarzonej Tafinlar + Mekinist (dabrafenib + trametynib) w omawianym wskazaniu.

#### Dowody naukowe

Jedynymi dostępnymi dowodami naukowymi pochodzą z jednej próby klinicznej z randomizacją KEYNOTE-054, która jednak jeszcze nie dobiegła końca. Dotychczasowe wyniki wskazują na wydłużenie okresu bez cech nawrotu choroby (RFS) jednak nie wykazano do tej pory wydłużenia okresu przeżycia całkowitego (OS) ani przeżycia bez przerzutów odległych. Wnioskodawca wskazuje publikację Suciū 2018, w której badano zasadność przyjmowania punktu końcowego RFS jako surogatu OS w ocenie terapii adjuwantowej u pacjentów z czerniakiem w II–III stopniu zaawansowania. Publikacja sugeruje możliwość istnienia zależności pomiędzy RFS i OS. Jednak raport NICE 2018 podkreśla, iż wnioski odnośnie poprawy przeżycia pacjentów mogą być wyciągane dopiero na podstawie rzeczywistych wyników dla OS.

Wyniki dotyczące jakości życia zostały opublikowane w formie abstraktu Coens 2018. U pacjentów stosujących pembrolizumab po resekcji czerniaka w III stadium zaawansowania wykazano istotne statystycznie pogorszenie globalnej oceny stanu zdrowia w porównaniu z pacjentami leczonymi placebo.

#### Problem ekonomiczny

Wnioskodawca w przedstawionej analizie przyjął dożywotni (46-letni) horyzont czasowy. Wyjściowy wiek kohorty wynosi 54 lata, a zatem symulacja kohorty w modelu ma miejsce do ukończenia przez pacjentów 100 lat lub do momentu zgonu. Brak jest jednak podstaw aby zakładać, iż efekt podawania pembrolizumabu rozciągał się będzie w tak długim przedziale czasowym. Przyjęcie nierealistycznego horyzontu czasowego skutkuje pozornym obniżeniem kosztów uzyskania użyteczności zdrowotnej. Przy szacowaniu wiarygodniejszych, krótszych horyzontów czasowych symulowany koszt terapii dla uzyskania QALY sięga [redacted] a zatem przy proponowanej cenie leku terapia jest [redacted].

Bardzo niepewne jest szacowanie populacji, która miałaby brać udział w proponowanym programie z uwagi na duże rozbieżności pomiędzy oszacowaniem nowych zachorowań opartych o dane w Krajowym Rejestrze Nowotworów (ok. 4 tys. przypadków) i dane Narodowego Funduszu Zdrowia (7 tysięcy przypadków). Przedstawione przez Wnioskodawcę oszacowania wpływu na budżet płatnika publicznego cechują się zatem dużą niepewnością.

#### Główne argumenty decyzji

Główne ograniczenia analizy wynikają z faktu, że badanie KEYNOTE-054 nie dobiegło końca i brak jest wyników przeżycia całkowitego oraz przeżycia



*bez przerzutów odległych. W tej sytuacji opieranie skuteczności leczenia na surogacie obarczone jest dużym ryzykiem popełnienia błędu. Wobec tej niepewności koszty terapii powinny być niskie.*

*Proponowany program lekowy,*

*Dodatkowymi ograniczeniami są niespójności pomiędzy kryteriami kwalifikacji do badania KEYNOTE-054, a tymi ujętymi we wnioskowanym programie.*

*Wnioskodawca w analizie dokonał porównania stosowania pembrolizumabu jedynie z placebo. Jednak w czerniaku polecany jest jako terapia adjuwantowa też niwolumab i terapia skojarzona dabrafenibem z trametynibem. Z uwagi na niedawne pozytywne stanowisko Agencji dla wniosków o refundowanie leku Opdivo (niwolumab) we wnioskowanym wskazaniu oraz leków Tafinlar i Mekinist w czerniaku skóry z obecnością mutacji BRAF V600 o stopniu zaawansowania III po radykalnej resekcji (ICD-10: C43) (leczenie adjuwantowe), w opinii Rady konieczne jest uwzględnienie tych technologii jako komparatorów. Wnioskodawca, pomimo wezwania do uzupełniania analizy nie przedstawił porównań pembrolizumabu z niwolumabem ani z dabrafenibem i trametynibem.*

#### **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 późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr: OT.4331.32.2019 „Wniosek o objęcie refundacją leku Keytruda (pembrolizumab) we wskazaniu: »Leczenie czerniaka skóry lub błon śluzowych (ICD-10 C43)« (leczenie adjuwantowe)”. Data ukończenia: 25 lipca 2019 r.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

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

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem (MSD Polska Dystrybucja 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:** (MSD Polska Dystrybucja Sp. z o.o.).



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 67/2019 z dnia 5 sierpnia 2019 roku

w sprawie oceny leku Taltz (iksekizumab) w ramach programu lekowego „Leczenie łuszczycowego zapalenia stawów o przebiegu agresywnym (ŁZS) (ICD-10 L 40.5, M 07.1, M 07.2, M 07.3)”

*Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Taltz (iksekizumab), roztwór do wstrzykiwań, 80 mg/ml, 2 wstrzykiwacze 1 ml, kod EAN 5909991282950, w ramach programu lekowego „Leczenie łuszczycowego zapalenia stawów o przebiegu agresywnym (ŁZS) (ICD-10 L40.5, M07.1, M07.2, M07.3)”.*

#### Uzasadnienie

##### Problem decyzyjny

*Wnioskowane jest objęcie refundacją produktu leczniczego Taltz (iksekizumab - IXE) ze środków publicznych, w ramach istniejącej grupy limitowej, poprzez dołączenie leku Taltz do istniejącego programu lekowego B.35 „Leczenie łuszczycowego zapalenia stawów o przebiegu agresywnym (ŁZS) (ICD-10 L 40.5, M 07.1, M 07.2, M 07.3)”, w ramach którego refundacją objęte są następujące substancje czynne: adalimumab, certolizumab pegol, etanercept, golimumab, infliksymab, sekukinumab.*

*Zgodnie z Charakterystyką Produktu Leczniczego (ChPL), Taltz (iksekizumab) może być stosowany u pacjentów, którzy nie odpowiedzieli w wystarczającym stopniu na terapię jednym lub wieloma lekami przeciwreumatycznymi, modyfikującymi przebieg choroby (DMARD) albo nie tolerują takiego leczenia.*



Wnioskodawca proponuje włączenie leku Taltz do istniejącej grupy limitowej – 1184.0, Iksekizumab, co jest zgodne z zapisami art. 15 ust. 2 ustawy o refundacji.

Produkt leczniczy Taltz jest obecnie refundowany w ramach programu lekowego: B.47 „Leczenie umiarkowanej i ciężkiej postaci łuszczycy plackowatej (ICD-10 L 40.0)”. Lek Taltz jest wydawany pacjentom zakwalifikowanym do tego programu lekowego bezpłatnie.

#### Dowody naukowe

Do przeglądu systematycznego zamieszczonego w AKL wnioskodawcy włączono 9 publikacji (pełnotekstowe publikacje i abstrakty konferencyjne) opisujących 5 randomizowanych badań klinicznych.

Badania porównujące iksekizumab z placebo:

- Badanie SPIRIT-P1, opisujące wyniki leczenia IXE vs. PLC pacjentów nieleczonych wcześniej biologicznymi lekami modyfikującymi przebieg choroby - bLMPCh (2 publikacje pełnotekstowe: Mease 2017 i Coates 2017 oraz 1 abstrakt konferencyjny Strand 2017);
- Badanie SPIRIT-P2 opisujące wyniki leczenia IXE vs. PLC pacjentów po wcześniejszym niepowodzeniu lub nietolerancji leczenia bLMPCh (2 publikacje pełnotekstowe: Nash 2017 i Nash 2018).

[REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE] Nie odnaleziono opracowań wtórnych ani badań efektywności rzeczywistej dla ocenianej interwencji.

Wyniki porównania pośredniego iksekizumabu i [REDAKTOWANE] wskazują na porównywalną skuteczność terapii.

Metaanaliza badań przeprowadzona w publikacji Lu 2019 wykazała, że infliksymab, adalimumab, golimumab i sekukinumab stanowią opcje terapeutyczne bezpieczniejsze i efektywniejsze niż pozostałe analizowane substancje czynne (w tym iksekizumab) podczas indukcyjnej fazy terapii. Rankingowanie ocenianych technologii za pomocą wartości powierzchni pod skumulowaną krzywą rankingową (SUCRA) wskazało, że iksekizumab jest najmniej skuteczną w odniesieniu do ACR20 substancją spośród wszystkich aktualnie refundowanych w ramach programu lekowego B.35.

Metaanaliza Wu 2018 porównywała skuteczność i bezpieczeństwo inhibitorów Il-6, Il-12/23 oraz Il-17. Odnosząc się jedynie do porównania ocenianego leku i sekukinumabu (jedyna technologia refundowana uwzględniona w badaniu), w odniesieniu do skuteczności wyrażonej w skali ACR20 (zmniejszenie o  $\geq 20\%$  liczby bolesnych i obrzękniętych stawów oraz wartości 3 spośród 5 parametrów: OB, ogólnej aktywności choroby ocenianej przez chorego i przez lekarza, natężenia bólu, sprawności fizycznej ocenianej za pomocą kwestionariusza HAQ) oraz ACR50 (zmniejszenie o  $\geq 50\%$  liczby bolesnych i obrzękniętych stawów oraz wartości 3 spośród 5 ww. parametrów) - w 24. tygodniu terapii, nie wykazano różnic istotnych statystycznie pomiędzy terapiami.

Przegląd systematyczny Dressler 2019 odniósł się do wyników bezpośredniego porównania iksekizumabu z adalimumabem. Wykazano brak różnic pomiędzy porównywanymi terapiami w odniesieniu do skuteczności wyrażonej za pomocą skali ACR20 oraz do jakości życia ocenianej za pomocą kwestionariuszy HAQ-DI.

Odnaleziono 6 rekomendacji refundacyjnych SMC, HAS, GBA IQWIG, NICE, CADTH i NCPE (wszystkie z 2018 r.), przy czym 5 było pozytywnych, w tym 1 warunkowo. Rekomendacja NCPE Ireland była negatywna ze względu na wysoką cenę leku. W pozytywnych rekomendacjach zwrócono uwagę na przewagę iksekizumabu nad placebo. Jednocześnie podkreślono, że terapia iksekizumabem nie wiąże się z występowaniem dodatkowych korzyści,

w porównaniu z innymi technologiami biologicznymi stosowanymi w leczeniu ŁZS.

Problem ekonomiczny

[Redacted]

Model wnioskodawcy cechują jednak liczne ograniczenia, które uniemożliwiają wiarygodne wnioskowanie o wpływie refundacji iksekizumabu na wydatki płatnika.

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

Główne argumenty decyzji

W przedłożonych wraz z wnioskiem analizach jako komparator dla iksekizumabu wybrano

[Redacted]

[REDAKTION]

*Do 3 najczęściej stosowanych leków w agresywnym łuszczycowym zapaleniu stawów (ŁZS) zaliczane są: adalimumab, golimumab i etanercept, które łącznie posiadają ponad 91,1% udziałów w tym programie (dane dla 2018 r.), które mogą zostać zastąpione przez wnioskowaną technologię i powinny być w analizie uwzględnione jako komparatory.*

*Lek mógłby być potencjalnie włączony do systemu refundacji po obniżeniu jego ceny do [REDAKTION].*

#### **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 późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr: OT.4331.23.2019 „Wniosek o objęcie refundacją leku Taltz (iksekizumab) w ramach programu lekowego: »Leczenie łuszczycowego zapalenia stawów o przebiegu agresywnym (ŁZS) (ICD-10 L 40.5, M 07.1, M 07.2, M 07.3)«”. Data ukończenia: 25 lipca 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 (Eli Lilly Polska sp. z o.o.).

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem (Eli Lilly 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:** (Eli Lilly Polska sp. z o.o.).





## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 68/2019 z dnia 5 sierpnia 2019 roku

w sprawie oceny leku Xeljanz (tofacitinibum) w ramach programu lekowego „Leczenie łuszczycowego zapalenia stawów o przebiegu agresywnym (ŁZS) (ICD-10 L40.5, M07.1, M07.2, M07.3)”

*Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Xeljanz (tofacitinibum), tabletki powlekane, 5 mg, 56 szt., kod EAN: 5907636977100, w ramach programu lekowego „Leczenie łuszczycowego zapalenia stawów o przebiegu agresywnym (ŁZS) (ICD-10 L40.5, M07.1, M07.2, M07.3)”.*

#### Uzasadnienie

##### Problem decyzyjny

*Tofacytynib jest silnym selektywnym inhibitorem z rodziny JAK. W testach enzymatycznych tofacytynib hamuje aktywność kinaz JAK1, JAK2, JAK3 i w mniejszym stopniu TyK2. Tofacytynib wykazuje jednak wysoki stopień selektywności wobec innych kinaz w genomie ludzkim. W komórkach ludzkich tofacytynib preferencyjnie hamuje sygnalizację heterodimerycznych receptorów cytokin, z którymi łączą się kinazy JAK3 i (lub) JAK1, charakteryzujące się selektywnością funkcjonalną większą od receptorów cytokin, które przesyłają sygnały poprzez pary kinaz JAK2. Hamowanie kinaz JAK1 i JAK3 przez tofacytynib osłabia sygnalizację interleukinową (IL-2, IL-4, IL-6, IL-7, IL-9, IL-15, IL-21) oraz interferonową typu I i typu II, co skutkuje modulacją odpowiedzi immunologicznej i zapalnej.*

*Wnioskowane jest włączenie produktu leczniczego Xeljanz do istniejącego programu lekowego B.35 „Leczenie łuszczycowego zapalenia stawów o przebiegu agresywnym (ŁZS) (ICD-10 L40.5, M07.1, M07.2, M07.3)” oraz utworzenie osobnej grupy limitowej. Program B.35 obejmuje terapię następującymi substancjami czynnymi: adalimumab, certolizumab pegol, etanercept, golimumab, infliksymab i sekukinumab.*

##### Dowody naukowe

*We wszystkich odnalezionych wytycznych klinicznych leczenie biologiczne jest zalecane u pacjentów z aktywnym ŁZS po niepowodzeniu wcześniejszego leczenia konwencjonalnymi DMARD lub NLPZ, w zależności od typu choroby.*



Najczęściej zalecane jest rozpoczęcie leczenia biologicznego od inhibitora TNF-alfa, ale wytyczne GRAPPA z 2015 r. warunkowo rekomendowały zastosowanie również inhibitora IL-17 (sekukinumabu). Najnowsze wytyczne ARC/NPF 2018 w pierwszej kolejności po nieskuteczności leczenia konwencjonalnymi DMARD zalecają inhibitory TNF-alfa (etanercept, infliksimab, adalimumab, golimumab, certolizumab pegol), a następnie inhibitory IL-17 (sekukinumab, iksekizumab, brodalumab), które są bardziej preferowane od inhibitora IL-12/23 (ustekinumabu), który z kolei jest bardziej zalecany niż abatacept i tofacytynib. W przypadku pacjentów z aktywnym ŁZS pomimo leczenia monoterapią inhibitorem TNF wytyczne ARC/NPF 2018 zalecają zmianę terapii na inny inhibitor TNF-alfa, co jest bardziej preferowane niż zmiana na inhibitor IL-17, który jest bardziej preferowany od inhibitora IL-12/23, który z kolei jest bardziej zalecany niż abatacept i tofacytynib.

Tofacytynib wymieniono jedynie w dwóch spośród 8 odnalezionych wytycznych (ACP/NPF 2018 oraz NICE 2018a), co wynika m.in. z rejestracji leku Xeljanz w leczeniu łuszczycowego zapalenia stawów w kwietniu 2018 r. Wytyczne NICE z 2018 r. zalecają stosowanie tofacytynibu w skojarzeniu z metotreksatem po niepowodzeniu terapii co najmniej dwoma standardowymi lekami z grupy DMARD lub po niepowodzeniu leczenia inhibitorem TNF-alfa lub w przypadku przeciwwskazań do terapii inhibitorem TNF-alfa. W wytycznych ACP/NPF 2018 tofacytynib jest najmniej preferowaną opcją terapeutyczną i zalecany jest do stosowania po wcześniejszym stosowaniu inhibitora IL 12/23.

Badania włączone do analizy klinicznej wykazują dość znaczną heterogeniczność kliniczną oraz metodologiczną. Szczególnie w przypadku badań dla komparatorów, których dane wykorzystano w porównaniu pośrednim przez placebo. W przypadku tego porównania korzystano z wyników zarówno dla 3 miesięcznego horyzontu, a w przypadku braku takich danych, korzystano z danych w dłuższym horyzoncie czasowym (maksymalnie do 16-go tyg. obserwacji). Ponadto liczba pacjentów włączonych do poszczególnych badań waha się pomiędzy 60 a 400 pacjentów. Wskazane rozbieżności mogą wpływać na wiarygodność otrzymanych wyników porównania pośredniego.

Wnioskodawca przedłożył wyniki badania OPAL Balance, które stanowi kontynuację badań OPAL Broaden i OPAL Beyonce. Do 36 miesiąca obserwacji w badaniu raportowano wystąpienie zdarzeń niepożądanych u 546 pacjentów (79,6%), 95 pacjentów (13,8%) miało ciężkie zdarzenia niepożądane, a 59 pacjentów (8,6%) przerwało leczenie ze względu na zdarzenia niepożądane.

W odniesieniu do leku ma zastosowanie informacja na temat bezpieczeństwa stosowania.

Zgodnie z porównaniem tofacytynibu do innych aktywnych komparatorów ujętych w publikacji Lu 2019, wykazana została jego niska skuteczność względem aktywnych komparatorów.

Problem ekonomiczny

[Redacted]

[Redacted]

Główne argumenty decyzji

Zgodnie z porównaniem tofacytynibu do innych aktywnych komparatorów ujętych w publikacji Lu 2019, wykazana została jego niska skuteczność względem innych aktywnych komparatorów.

Lek mógłby być potencjalnie włączony do systemu refundacji po obniżeniu jego ceny [Redacted]

[Redacted]

**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 późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr: OT.4331.24.2019 „Wniosek o objęcie refundacją leku Xeljanz (tofacytynib) we wskazaniu: »Leczenie łuszczykowego zapalenia stawów o przebiegu agresywnym (ICD-10 L40.5, M07.1, M07.2, M07.3)«”. Data ukończenia: 25 lipca 2019 r.

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 (Pfizer Polska Sp. z o.o.).

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

**Podstawa prawna wyłączenia jawności:** art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2016 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:** (Pfizer Polska Sp. z o.o.).



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 230/2019 z dnia 5 sierpnia 2019 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Previmis (letermovir) we wskazaniu: profilaktyka infekcji CMV u pacjenta CMV-seropozytywnego (ICD-10: B25.9)

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, Previmis (letermovir), tabletka powlekana à 240 mg, we wskazaniu: profilaktyka infekcji CMV u pacjenta CMV-seropozytywnego (ICD-10: B25.9), pod warunkiem, że pacjent nie może otrzymywać walgancyklowiru lub okazał się on nieskuteczny.*

#### Uzasadnienie

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

*Wniosek dotyczy pacjenta w wieku 18 lat z oporną na leczenie ostrą białaczką szpikową. Pacjent został poddany allogenicznej transplantacji komórek hematopoetycznych od CMV-seronegatywnego dawcy; obecnie otrzymuje letermovir (LTV) ze środków fundacji i konieczna jest kontynuacja leczenia.*

*Wg wskazań rejestracyjnych, letermovir jest wskazany w zapobieganiu reaktywacji cytomegalowirusa (CMV) i rozwojowi choroby u dorosłych, seropozytywnych względem CMV pacjentów [R+], którzy byli poddani zabiegowi allogenicznego przeszczepienia krwiotwórczych komórek macierzystych (HSCT, ang. hematopoietic stem cell transplant).*

*Zarówno Rada Przejrzystości (Stanowisko nr 11/2019 z dnia 4 lutego 2019 r.), jak i Prezes Agencji (Rekomendacja nr 10/2019 z dnia 15 lutego 2019 r.) uznali za zasadne objęcie refundacją Previmisu w całym zakresie zarejestrowanych wskazań i przeznaczeń, pod warunkiem wprowadzenia instrumentu dzielenia ryzyka zabezpieczającego budżet płatnika. Previmis nie jest obecnie w Polsce refundowany.*

*Wirus cytomegalii (CMV) należy do najczęstszych patogenów infekcyjnych u biorców przeszczepów narządowych i komórek krwiotwórczych i ma niekorzystny wpływ na przeżycie biorców i przeszczepionych narządów. W opinii Konsultanta Krajowego w dz. onkologii i hematologii dziecięcej,*



liczebność populacji docelowej „w zależności od przyjętych kryteriów i czynników ryzyka wynosi od 100 do 350 osób/rocznie”.

#### Skuteczność kliniczna i praktyczna

Do analizy włączono 2 badania pierwotne dotyczące skuteczności klinicznej: NCT02137772 (randomizowane, wieloośrodkowe, podwójnie zaślepienie badanie kliniczne III fazy) oraz badanie-Chemaly 2014 (randomizowane, wieloośrodkowe, podwójnie zaślepienie badanie kliniczne II fazy). Obydwa udowodniły dużą skuteczność leku w stosunku do placebo. Brak jest porównania leku z gancyklowirem i walgancyklowirem.

W badaniu NCT02137772, znacząco mniej pacjentów z grupy LTV niż w grupie PLC miało klinicznie istotną infekcję CMV, lub osiągnęło pierwszorzędowny punkt końcowy: w ciągu 24 tyg. po przeszczepieniu komórek macierzystych układu krwiotwórczego (różnica: -23,5 pkt. proc., 95% CI: -32,5; 7/35 do -14,6,  $p < 0,001$ ), oraz w ciągu 14 tyg. po przeszczepie (różnica -31,3 pkt. proc., 95% CI: -39,9 do -22,6;  $p < 0,001$ ). Zgony z jakiegokolwiek przyczyny po 24 tyg. po transplantacji występowały istotnie rzadziej w grupie LTV w porównaniu do grupy PLC (10,2% vs 15,9%,  $p = 0,03$ ). Wykazano, że zastosowanie LTV w porównaniu z PLC istotnie statystycznie redukuje ryzyko wystąpienia klinicznie istotnej infekcji CMV ( $p < 0,001$ ). W badaniu zaobserwowano niższy odsetek ponownych hospitalizacji z jakiegokolwiek przyczyny w grupie LTV w porównaniu do grupy placebo na koniec leczenia w 14 tygodniu (36,6% vs 47,6%, różnica istotna statystycznie,  $p = 0,021$ ) w czasie oceny pierwszorzędownego punktu końcowego w 24 tygodniu (48,6% vs 55,3%) i w czasie wydłużonego okresu obserwacji do 48 tygodni (55,7% vs 60,6%). Odnotowano także istotnie statystycznie rzadsze ponowne hospitalizacje związane z CMV w grupie leczonej letermovirem w każdym ocenianym punkcie czasowym w porównaniu do placebo.

W badaniu Chemaly 2014, odsetek pacjentów doświadczających niepowodzenia profilaktyki (niezależnie od przyczyny) w ramieniu PLC (64%) był istotnie statystycznie wyższy niż w grupie LTV 240 mg (29%,  $P = 0,007$ ). Wystąpienie niepowodzenia wirusologicznego było istotnie rzadsze w grupie LTV 240 mg niż PLC (6% vs 36%).

Wytyczne europejskie z 2019 roku (ECIL7 2019) wskazują, że chemoprofilaktyka przeciwwirusowa ma na celu zapobieganie reaktywacji wirusa cytomegalii u pacjentów seropozytywnych i jest zalecana u wszystkich biorców allo-HSCT. Do zalecanych interwencji obok letermoviru należą acyklowir, walcacyklowir oraz walgancyklowir. Przy czym rekomendacja letermoviru jest poparta dowodami o najwyższym poziomie wiarygodności (badania RCT).

W opinii prof. dr hab. Jana Styczyńskiego, Konsultanta Krajowego w dz. onkologii i hematologii dziecięcej, letermovir to „bardzo skuteczny i bezpieczny lek, wysoki profil bezpieczeństwa, zapobiega nadkażeniom bakteryjnym i grzybiczym.

Zapobiega wielu późniejszym kosztom. Przyczynia się do lepszych wyników terapii przeszczepowych”.

Zdaniem prof. dr hab. n. med. Michała Matysiaka, Konsultanta Wojewódzkiego w dz. onkologii i hematologii dziecięcej, „terapia za pomocą Prevymisu (letermovir), tabletki powlekane à 240 mg, zwiększa szanse pacjenta na wyleczenie oraz ogranicza powikłania po allogenicznym, przeszczepieniu krwiotwórczych komórek macierzystych” dlatego „finansowanie ze środków publicznych produktu leczniczego Prevymis (...) jest zasadne”.

#### Bezpieczeństwo stosowania

Nie zaobserwowano istotnych statystycznie różnic między grupami LTV i PLC w zakresie najczęstszych zdarzeń nieporządných (AEs) które wystąpiły w ciągu 16 tygodni po transplantacji, wśród nich zdarzeniami występującymi u przynajmniej 20% chorych w obu grupach były: choroba graft przeciw gospodarzowi (GVHD), biegunka, nudności, gorączka i wysypka (Marty 2017). Odsetki zgonów, ciężkich AEs (SAEs), AEs, SAEs, związanych z leczeniem (DR-SAEs) były niższe w grupie LTV niż w grupie PLC. W grupie PLC ponad dwukrotnie częściej przerwano terapię niż w grupie LTV (58% vs 26%), a najczęstszą przyczyną były infekcje (w szczególności CMV) i infestacje (39% vs 14%).

Do najczęściej zgłaszanych działań niepożądanych, które były przyczyną zakończenia przyjmowania produktu leczniczego Prevymis należały nudności (1,6%), wymioty (0,8%) i ból brzucha (0,5%).

Ogólnie, LTV jest bardzo dobrze tolerowanym lekiem.

#### Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

W opinii Konsultanta Krajowego w dz. onkologii i hematologii dziecięcej, relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania ocenianej technologii jest „wysoka ze względu na zapobieganie wystąpieniu efektów bezpośrednich i pośrednich zakażenia CMV”.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania została oceniona przez EMA na etapie rejestracji, w ramach wskazania „profilaktyka reaktywacji CM i rozwoju choroby u dorosłych, CMV-seropozytywnych pacjentów [R+] poddanych allogenicznemu przeszczepieniu krwiotwórczych komórek macierzystych (allo-HSCT)”, które pokrywa się z wnioskowanym wskazaniem. Z uwagi na fakt, że wnioskowany lek zarejestrowano we wnioskowanym wskazaniu, można wnioskować, że relacja ta jest pozytywna.

#### Konkurencyjność cenowa

Koszt netto wnioskowanej terapii przez 84 dni (1 tabletka à 240 mg/dobę) wynosi ██████████ zł. Nie zidentyfikowano leków generycznych. Prawdopodobny komparator, jakim jest gancyklowir jest tylko w postaci dożylniej. Inny komparator - walgancyklowir (generyczny Valgancyklovir Teva, 60 tabl a 450 mg) kosztuje 1 057,20 zł.

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

Koszt jednego opakowania leku Prevymis (letermovir) wynosi ██████████ zł netto. Wydatki płatnika publicznego związane z refundacją 84 dni terapii produktem Prevymis (letermovir), w przeliczeniu na jednego pacjenta oszacowano na ██████████ zł netto (dane kosztowe i czas trwania terapii wg wniosku). Przy założeniu zakresu liczebności populacji docelowej od 100 do 350 osób oraz danych kosztowych i czasu trwania terapii zgodnej z wnioskiem, wydatki płatnika publicznego będą wynosić od ██████████ zł netto do ██████████ zł.

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

Wytyczne europejskie z 2019 roku (ECIL7 2019) wskazują, że chemoprowfilaktyka przeciwwirusowa ma na celu zapobieganie reaktywacji wirusa cytomegalii u pacjentów seropozytywnych i jest zalecana u wszystkich biorców allo-HSCT. Do zalecanych interwencji, obok letermoviru, należą: acyklowir, walacyklowir oraz walgancyklowir. Przy czym rekomendacja letermoviru jest poparta dowodami o najwyższym poziomie wiarygodności (badania RCT).

Wytyczne kliniczne wymieniają również walacyklowir oraz foscarnet, jednakże w informacji zawarta w ChPL Vaciclor (walacyklowir) wskazuje, że „walacyklowir może być stosowany jedynie u tych pacjentów, u których względy bezpieczeństwa wykluczają zastosowanie walgancyklowiru lub gancyklowiru”. Nie zidentyfikowano zarejestrowanego w Polsce produktu leczniczego zawierającego substancję czynną foscarnet.

Biorąc pod uwagę, iż zlecenie dotyczy ratunkowego dostępu do technologii lekowej założono, że u danego świadczeniobiorcy zostały wyczerpane wszystkie możliwe do zastosowania w tym wskazaniu technologie medyczne finansowane ze środków publicznych.

**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 2019 r., poz. 1373), z uwzględnieniem opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, nr: OT.422.54.2019 „Prevymis (letermovir) we wskazaniu: profilaktyka infekcji CMV u pacjenta CMV-seropozytywnego (ICD-10: B25.9), w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych”. Data ukończenia: 2 sierpnia 2019 r.



Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców (Merck Sharp & Dohme B.V.).

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem (Merck Sharp & Dohme B.V.) o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

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

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

**Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności:** Merck Sharp & Dohme B.V.).



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 231/2019 z dnia 5 sierpnia 2019 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Tarceva (erlotynib) we wskazaniu: III i kolejna linia leczenia gruczolakoraka płuca (EGFR dodatni) (ICD-10: C34.8) w populacji pacjentów dorosłych

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Tarceva (erlotynib), tabletki á 150 mg, we wskazaniu: III i kolejna linia leczenia gruczolakoraka płuca (EGFR dodatni) (ICD-10: C34.8) w populacji pacjentów dorosłych, pod warunkiem stosowania w sytuacji klinicznej opisanej w zleceniu Ministerstwa Zdrowia, to jest u pacjentów leczonych skutecznie erlotynibem w ramach pierwszej linii leczenia raka gruczołowego płuc, u których terapię przerwano ze względu na wystąpienie innego nowotworu, a następnie zastosowane było inne leczenie (w tym chemioterapia), które nie doprowadziło do remisji choroby. Warunkiem finansowania leku Tarceva (erlotynib) w omawianym wskazaniu jest też, potwierdzony badaniami obrazowymi, brak nawrotu innego nowotworu, z powodu którego przerwano stosowanie erlotynibu.*

#### **Uzasadnienie**

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

*Uogólniony niedrobnokomórkowy rak płuca z mutacją genie EGFR jest chorobą, która nieleczona, prowadzi do pogorszenia stanu chorego i w konsekwencji do śmierci. Ekspert krajowy zwraca zarazem uwagę, że w omawianym wskazaniu erlotynib nie jest lekiem ratującym życie lub prowadzącym do poprawy jakości życia chorego, lecz pozwala jedynie na wydłużenia czasu przeżycia wolnego od progresji choroby, średnio o około 2 miesiące.*

##### Skuteczność kliniczna i praktyczna

*Nie odnaleziono dowodów naukowych, w których populacja ściśle odpowiadałaby populacji ocenianej. W badaniu rejestracyjnym dla erlotynibu (Shepherd 2005) kwalifikowano pacjentów z niedrobnokomórkowym rakiem płuc, w tym rakiem gruczołowym płuc, po wcześniejszej terapii jednym*



lub dwoma schematami chemioterapii. Analiza w podgrupie pacjentów z gruczolakorakiem oraz w podgrupie pacjentów z nowotworem EGFR dodatnim również wskazała na istotną statystycznie przewagę erlotynibu w zakresie poprawy OS. Wyniki badań obserwacyjnych Kaburagi 2013 i Aoki 2012, dotyczących stosowania erlotynibu w III i IV linii leczenia, potwierdzają te obserwacje.

W badaniu wtórnym Song 2014 odniesiono się, natomiast, do ponownego rozpoczęcia terapii erlotynibem u pacjentów uzyskujących wcześniej korzyść z leczenia tym lekiem, a będących w trakcie progresji choroby po zastosowaniu innej terapii. Przeżycie całkowite, ocenione w całej badanej populacji, było istotnie statystycznie lepsze w grupie stosujących erlotynib, w porównaniu z grupą stosujących placebo (mediana OS wyniosła odpowiednio 6,7 miesiąca vs 4,7 miesiąca).

#### Bezpieczeństwo stosowania

Bezpieczeństwo stosowania erlotynibu we wskazaniach rejestracyjnych jest dobrze poznane. Najczęściej występującymi zdarzeniami niepożądanymi są zmiany skórne i biegunka. Częstość i charakter zdarzeń niepożądanych, obserwowana w badaniach Kaburagi 2013 i Aoki 2012, była zbliżona do opisywanych w badaniach rejestracyjnych.

#### Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania leku Tarceva w omawianym wskazaniu została oceniona przez EMA jako pozytywna. Jednocześnie, zdaniem krajowego eksperta, proporcje korzyści do ryzyka klinicznego erlotynibu w III i kolejnej linii leczenia gruczolakoraka płuca nie są przekonujące. Wydaje się, jednak, że opinia ta odnosi się do ogółu chorych w III i kolejnej linii leczenia, a nie do konkretnej sytuacji klinicznej opisanej w zleceniu MZ, w której skuteczne leczenie preparatem Tarceva zostało przerwane ze względu na wykrycie innego nowotworu.

#### Konkurencyjność cenowa

Raport analityków AOTMiT wskazuje, jako komparator dla erlotynibu w ocenianym wskazaniu, brak aktywnego leczenia, przy równoczesnym stosowaniu najlepszego leczenia wspomagającego (BSC). Zgodnie z informacjami zawartymi w zleceniu MZ, wnioskowana terapia ma być prowadzona poprzez stosowanie pojedynczej dawki dziennej w wysokości 150 mg z zastosowaniem produktu Tarceva 150 mg. Dawkowanie to jest zgodne z zapisami ChPL dla leku Tarceva. Koszt 3 mies. terapii erlotynibem pojedynczego pacjenta dla płatnika publicznego wynosi 25 855 PLN, przy uwzględnieniu ceny opakowania leku Tarceva 150 mg na podstawie obwieszczenia MZ, 18 609 PLN, wg danych DGL.

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

Zgodnie z oszacowaniami analityków Agencji, terapia pojedynczego pacjenta erlotynibem w postaci produktu leczniczego Tarceva 150 mg, 30 tabl, przez okres 3 mies, będzie wiązać się z kosztem w wysokości ok. 19 tys. PLN, wg kosztów leku na podstawie danych DGL, oraz ok. 26 tys. PLN, wg kosztów z Obwieszczenia MZ z 27.06.2019 r. Koszty rocznej terapii, zależnie od źródła danych, wynoszą odpowiednio ok. 76 tys. PLN, i 105 tys. PLN.

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

Wg informacji podanych w załączniku do zlecenia MZ, dotychczasowe leczenie chorego, którego dotyczy wniosek, obejmowało karboplatynę z gemcytabiną, docetaksel, niwolumab, karboplatynę z pemetreksedem oraz erlotynib (leczenie przerwane z powodu ujawnienia innego nowotworu). Należy tu zauważyć, że u pacjentów z kliniczną opornością na inhibitory kinazy tyrozynowej EGFR pierwszej lub drugiej generacji, należy wykonać badanie w kierunku mutacji T790M, a w przypadku jej wystąpienia zalecany jest ozymertynib. W rozpatrywanej sytuacji klinicznej mutacja T790+, która ma miejsce w 50-60% przypadków nabytej oporności na leczenie TKI EGFR I i II prawdopodobnie nie jest obecna, gdyż nie została utracona odpowiedź na leczenie erlotynibem. Tym samym, za alternatywę dla stosowania erlotynibu należałoby uznać brak aktywnego leczenia, przy równoczesnym stosowaniu najlepszego leczenia wspomagającego. Dostępne dowody naukowe wskazują zarazem, że leczenie erlotynibem byłoby bardziej skuteczne.

**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 2019 r., poz. 1373), z uwzględnieniem opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, nr: OT.422.55.2019 „Tarceva (erlotynib) we wskazaniu: III i kolejna linia leczenia gruczolaka płuca (EGFR dodatni) (ICD-10: C34.8) w populacji pacjentów dorosłych”.  
Data ukończenia: 31 lipca 2019 r.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 69/2019 z dnia 5 sierpnia 2019 roku  
w sprawie oceny leku Besponsa (inotuzumab ozogamycyny)  
w ramach programu lekowego „Leczenie inotuzumabem  
ozogamycyny dorosłych chorych z nawrotową lub oporną na leczenie  
ostrą białaczką limfoblastyczną wywodzącą się z komórek  
prekursorowych limfocytów B, z ekspresją antygenu CD22,  
z lub bez chromosomu Filadelfia (ICD-10 C91.0)”

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Besponsa (inotuzumab ozogamycyny), proszek do sporządzania koncentratu roztworu do infuzji, 1 mg, 1 fiol. proszku, kod EAN: 5907636977193, w ramach programu lekowego „Leczenie inotuzumabem ozogamycyny dorosłych chorych z nawrotową lub oporną na leczenie ostrą białaczką limfoblastyczną wywodzącą się z komórek prekursorowych limfocytów B, z ekspresją antygenu CD22, z lub bez chromosomu Filadelfia (ICD-10 C91.0)”, w ramach nowej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie, pod warunkiem obniżenia kosztów leczenia poniżej kosztów leczenia [redacted].*

*Rada Przejrzystości uważa instrument dzielenia ryzyka za niewystarczający.*

*Rada nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego.*

### **Uzasadnienie**

#### Problem decyzyjny

*W leczeniu ostrej białaczki limfoblastycznej u dorosłych po pierwszej linii leczenia remisję osiąga się u ok. 70% chorych. Po niepowodzeniu leczenia stosuje się kolejne inhibitory kinazy tyrozynowej, blinatumomab i inotuzumab ozogamycyny, które mogą umożliwić przeszczepienie komórek macierzystych.*

#### Dowody naukowe

*Wyniki badania INO-VATE, porównujące Besponsę z chemioterapią, a nie z inhibitorami kinazy tyrozynowej ani blinatumomabem, które wskazują, że mediana czasu przeżycia wolnego od progresji była dłuższa o 1 miesiąc wśród pacjentów leczonych inotuzumabem ozogamycyny w porównaniu do pacjentów przyjmujących terapię standardową.*



Problem ekonomiczny

Lek nie jest efektywny kosztowo.

Główne argumenty decyzji

- Skuteczność kliniczna wykazana w badaniu randomizowanym;
- Dostępność innych leków, takich jak: inhibitory kinazy tyrozynowej i blinatumomab w tym wskazaniu;
- Brak efektywności kosztowej.

**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 późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr: OT.4331.26.2019 „Wniosek o objęcie refundacją leku Besponsa (inotuzumab ozogamycyny) w ramach programu lekowego: »Leczenie inotuzumabem ozogamycyny dorosłych chorych z nawrotową lub oporną na leczenie ostrą białaczką limfoblastyczną wywodzącą się z komórek prekursorowych limfocytów B, z ekspresją antygenu CD22, z lub bez chromosomu Filadelfia (ICD 10 C91.0)«”. Data ukończenia: 26 lipca 2019 roku.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

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

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

**Podstawa prawna wyłączenia jawności:** art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2016 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:** (Pfizer Polska Sp. z o.o.).



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 232/2019 z dnia 5 sierpnia 2019 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Tecentriq (atezolizumab) we wskazaniu: mięsak pęcherzykowy tkanek miękkich, progresja choroby (ICD-10: C49.2)

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Tecentriq (atezolizumab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, fiolka à 1200 mg, we wskazaniu: mięsak pęcherzykowy tkanek miękkich, progresja choroby (ICD-10: C49.2).*

#### Uzasadnienie

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

*Mięsak pęcherzykowy tkanek miękkich (alveolar soft part sarcoma, ASPS) stanowi niezwykle rzadki, odrębny typ histologiczny mięsaka tkanek miękkich (MTM) o nieznanym kierunku różnicowania. Klinicznie charakteryzuje się powolnym wzrostem i tendencją do wczesnych przerzutów do płuc, mózgu i kości. Występuje głównie u młodych dorosłych (mediana - trzecia dekada życia), najczęściej w obrębie kończyny dolnej. Stanowi 0,2-1% wszystkich mięsaków tkanek miękkich. Pomimo powolnego wzrostu mięsaka, rokowanie jest złe. U 80% chorych występują przerzuty, zlokalizowane głównie w płucach, w dalszej kolejności w mózgu i kośćcu. Ocenia się, że 15% chorych przeżywa 20 lat. Lepiej rokują chorzy w wieku dziecięcym.*

*Zgodnie z informacją, przedstawioną w zleceniu MZ, wniosek dotyczy pacjenta (28 lat), leczonego sunitynibem, radioterapią, chemioterapią ADIC, pazopanibem, z progresją choroby, przerzutami do płuc i węzłów chłonnych oraz z zaawansowanym ogniskiem nowotworu w przestrzeni zaotrzewnowej.*

##### Skuteczność kliniczna i praktyczna

*W wyniku przeprowadzonego przeglądu, odnaleziono jedno badanie eksperymentalne odnoszące się do zastosowania atezolizumabu u pacjentów z nowozdiagnozowanym i przerzutowym mięsakiem pęcherzykowym tkanek miękkich (ASPS), który nie może być usunięty chirurgicznie. Badanie to nie jest zakończone i jego wyniki dostępne są jedynie w formie abstraktu*





konferencyjnego. Do badania włączono 22 chorych, w tym 10 kobiet i 12 mężczyzn, 7 chorych nie było wcześniej leczonych z powodu ASPS, a 15 otrzymywało terapię systemową (mediana linii wcześniejszego leczenia wyniosła 3).

Zgodnie z wynikami, odsetek obiektywnych odpowiedzi (ORR) wyniósł 42% (8/19), w tym u wszystkich pacjentów była to częściowa odpowiedź (PR). Mediana czasu do wystąpienia odpowiedzi wyniosła 5 cykli (zakres 4-19), mediana czasu leczenia 11 cykli (zakres 1-25 cykli). Stwierdzono jedynie 3 przypadki toksyczności w stopniu 3. (osutka skórna, ból, złamanie), pozostałe działania niepożądane występowały w stopniu 1-2.

#### Bezpieczeństwo stosowania

Do najczęściej zgłaszanych działań niepożądanych należały: uczucie zmęczenia, zmniejszony apetyt, nudności, kaszel, duszność, gorączka, biegunka, wysypka, ból pleców, wymioty, osłabienie, bóle stawów, świąd i zakażenia układu moczowego.

Ponadto, obserwowano były działania niepożądane o podłożu immunologicznym, które zazwyczaj przemijały po przerwaniu leczenia atezolizumabem i włączeniu kortykosteroidów oraz (lub) leczenia wspomagającego.

#### Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Produkt leczniczy Tecentriq nie jest obecnie zarejestrowany w omawianym wskazaniu. Nie jest również uwzględniany w aktualnie obowiązujących wytycznych, dotyczących leczenia mięsaków tkanek miękkich u dorosłych. Zdania ekspertów klinicznych ankietowanych przez Agencję, są podzielone odnośnie do korzyści terapeutycznych. Są oni jednak zgodni, odnośnie do niskiego ryzyka terapeutycznego omawianej technologii i określenia działań niepożądanych, jako możliwych do opanowania.

#### Konkurencyjność cenowa

Stwierdzono brak alternatywnej aktywnej technologii lekowej dla wnioskowanej populacji.

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

Zgodnie ze zleceniem MZ, lek Tecentriq będzie stosowany co 21 dni, w dawce 1200 mg (tj. 1 fiołka a 1200 mg). 3-miesięczna terapia obejmuje podanie 4 fiołek a 1200 mg. Zgodnie z informacjami ze zlecenia, koszt netto terapii wyniesie ■■■■■ zł, w tym koszt jednej fiołki netto ■■■■■ zł. Dla oszacowania rocznych kosztów leczenia przyjęto podanie 17 fiołek, co daje ■■■■■ zł.

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

*W związku z faktem, że główną opcją leczenia (wykluczając leczenie chirurgiczne, chemioterapię i radioterapię), wymienioną w rekomendacjach klinicznych, jest sunitynib (stosowany u pacjenta, którego dotyczy zlecenie MZ), w rozważanym przypadku nie ma technologii lekowej, która mogłaby stanowić alternatywną terapię dla wnioskowanej populacji.*

**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 2019 r., poz. 1373), z uwzględnieniem opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, nr: OT.422.56.2019 „Tecentriq (Atezolizumab) we wskazaniu: mięsak pęcherzykowy tkanek miękkich (ICD-10: C49.2)”. Data ukończenia: 31 lipca 2019 r.

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

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



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 233/2019 z dnia 5 sierpnia 2019 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Blincyto (blinatumomab) we wskazaniu: ostra białaczka limfoblastyczna z komórek B typu common Ph(-) – leczenie choroby resztkowej (ICD-10: C91.0)

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Blincyto (blinatumomab), proszek do sporządzania koncentratu do infuzji, fiolka à 38,5 µg, we wskazaniu: ostra białaczka limfoblastyczna z komórek B typu common Ph(-) – leczenie choroby resztkowej (ICD-10: C91.0).*

#### Uzasadnienie

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

*Wniosek dotyczy pacjenta w wieku 35 lat, u którego początek choroby datuje się na czerwiec 2006 r., CR uzyskano w sierpniu 2006 r., a wznowa choroby nastąpiła w lipcu 2018 r. W leczeniu wznowy stosowano schematy: FLAG-Ida, leczenie pomostowe blinatumomabem, po leczeniu blinatumomabem wykonano allo-SCT po kondycjonowaniu TBI/Eto/Cy/ATG. Aktualnie występuje choroba resztkowa na poziomie fenotypowym 0,07%, co oznacza ryzyko szybkiego kolejnego nawrotu.*

*Zgodnie z obowiązującym wykazem refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na dzień 1 lipca 2019 r., blinatumomab jest refundowany w ramach programu lekowego B.65. Leczenie chorych na ostrą białaczkę limfoblastyczną (ICD-10 C91.0).*

*Należy mieć na uwadze, że jedno z aktualnych wskazań rejestracyjnych dla leku Blincyto zawiera zapis o wymogu stwierdzenia u pacjenta minimalnej choroby resztkowej (ang. minimal residual disease, MRD) większej lub równej 0,1%. Warunek ten nie był uwzględniony w treści wskazania rejestracyjnego w chwili wydania opinii AOTMiT w 2017 r. Analizowany wniosek dotyczy pacjenta z MRD na poziomie 0,07%, stad można wnioskować, iż analizowane wskazanie stanowi wskazanie pozarejestracyjne.*



### Skuteczność kliniczna i praktyczna

Istnieje jedno badanie eksperymentalne, jednoramienne, II fazy, na podstawie, którego dnia 15.11.2018 roku dorejestrowano dla produktu leczniczego Blincyto (blinatumomab), dodatkowe wskazanie – leczenie osób dorosłych z ostrą białaczką limfoblastyczną z komórek prekursorowych B, bez chromosomu Filadelfia i z ekspresją antygenu CD19 w pierwszej lub drugiej całkowitej remisji, ze stwierdzoną minimalną chorobą resztkową  $\geq 0,1\%$  (badanie BLAST, opisane w publikacji Gokbuget 2018). W badaniu BLAST uczestniczyli dorośli pacjenci z pierwszą lub kolejną całkowitą remisją hematologiczną ostrej białaczki limfoblastycznej z komórek prekursorowych B, bez obecności chromosomu Filadelfia, z minimalną chorobą resztkową.

Spośród 113 pacjentów wziętych pod uwagę w analizie tego punktu końcowego, 88 osób (78%) osiągnęło całkowitą odpowiedź w zakresie minimalnej choroby resztkowej po pierwszym cyklu leczenia blinatumomabem. Dolna granica 95% przedziału ufności (69%; 85%) była wyższa niż 44%, co potwierdza hipotezę z badania. Dwóch dodatkowych pacjentów osiągnęło całkowitą odpowiedź w zakresie minimalnej choroby resztkowej po 2. cyklu leczenia blinatumomabem. Żaden dodatkowy pacjent nie osiągnął całkowitej odpowiedzi w zakresie minimalnej choroby resztkowej po 3. i 4. cyklu leczenia blinatumomabem.

Analiza została przeprowadzona na 103 pacjentach z całkowitą remisją hematologiczną oraz minimalną chorobą resztkową na poziomie  $>10^{-3}$  na początku trwania badania wykazała, że 91 osób (88%) osób osiągnęło jakąkolwiek odpowiedź w zakresie minimalnej choroby resztkowej, włączając w to 82 pacjentów (80%, 95%CI: 71%; 87%) z całkowitą odpowiedzią w zakresie minimalnej choroby resztkowej po 1. cyklu leczenia blinatumomabem.

Odsetki pacjentów, którzy osiągnęli całkowitą odpowiedź w zakresie minimalnej choroby resztkowej były podobne: między osobami z wyjściowym poziomem minimalnej choroby resztkowej  $\geq 10^{-2}$ , a osobami z wyjściowym poziomem minimalnej choroby resztkowej  $<10^{-2}$  oraz między osobami w pierwszej całkowitej remisji hematologicznej, a osobami z późniejszą całkowitą remisją hematologiczną.

### Bezpieczeństwo stosowania

Do najczęściej zgłaszanych ciężkich działań niepożądanych należały gorączka (11,4%), gorączka neutropeniczna (11,4%), zespół uwalniania cytokin (5,7%), posocznica (4,3%), zakażenia powiązane z zestawem do infuzji (4,3%), przedawkowanie (4,3%), drgawki (2,9%), niewydolność oddechowa (2,9%), hipoksja (2,9%), zapalenie płuc (2,9%) i niewydolność wielonarządowa (2,9%).

Działania niepożądane, notowane u dzieci i młodzieży leczonych produktem Blincyto, były podobne do stwierdzanych u dorosłych pacjentów. Do działań niepożądanych obserwowanych częściej (różnica  $\geq 10\%$ ) w grupie dzieci

*i młodzieży w porównaniu z grupą pacjentów dorosłych należały: niedokrwistość, trombocytopenia, leukopenia, gorączka, reakcje powiązane z infuzją, zwiększenie masy ciała i nadciśnienie tętnicze.*

#### Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

*Analizowane wskazanie stanowi wskazanie pozarejestacyjne.*

#### Konkurencyjność cenowa

*Zgodnie z Obwieszczeniem Ministra Zdrowia z dnia 27 czerwca 2019 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 lipca 2019 r. (Dz. U. MZ. z 2019 r., poz. 51) produkt leczniczy Blincyto jest refundowany dla osób dorosłych  $\geq 18$  lat w ramach programu lekowego „B.65 Leczenie chorych na ostrą białaczkę limfoblastyczną (ICD-10 C91.0)” Cena hurtowa brutto wynosi 11 328,14 zł (za 1 opakowanie: 1 fiolka proszku + 1 fiolka roztworu).*

*Nie zidentyfikowano leków generycznych.*

*Zgodnie z informacjami z rozdziału 11. Istnienie alternatywnej technologii medycznej oraz jej efektywność kliniczna i bezpieczeństwo stosowania, prawdopodobnym komparatorem może być produkt leczniczy Besponsa (inotuzumab ozogamycyny). Z powodu braku danych odnośnie do kosztów powyższej terapii, odstąpiono od obliczeń kosztu tej terapii.*

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

*Koszt jednego opakowania leku Blincyto (blinatumomab) wynosi ██████████ zł netto. Wydatki płatnika publicznego związane z refundacją terapii (3 cykle leczenia) produktem Blincyto (blinatumomab), w przeliczeniu na jednego pacjenta, oszacowano na ██████████ zł netto (dane kosztowe i czas trwania terapii wg wniosku).*

*Z uwagi na brak opinii ekspertów, niemożliwe było oszacowanie populacji docelowej, stąd odstąpiono od oszacowania wpływu finansowania wnioskowanego leku na wydatki płatnika.*

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

*Biorąc pod uwagę, iż zlecenie dotyczy ratunkowego dostępu do technologii lekowej założono, że u danego świadczeniobiorcy zostały wyczerpane wszystkie możliwe do zastosowania w tym wskazaniu technologie medyczne finansowane ze środków publicznych. Nie zidentyfikowano leków generycznych.*

*Zgodnie z informacjami z rozdziału 11. Istnienie alternatywnej technologii medycznej oraz jej efektywność kliniczna i bezpieczeństwo stosowania, prawdopodobnym komparatorem może być produkt leczniczy Besponsa (inotuzumab ozogamycyny).*

*Jednak należy mieć na uwadze, że wskazanie rejestracyjne leku Besponsa obejmuje pacjentów z ekspresją antygenu CD22.*

**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 2019 r., poz. 1373), z uwzględnieniem opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, nr: OT.422.61.2019 „Blincyto (blinatumomab) we wskazaniu: ostra białaczka limfoblastyczna z komórek B typu common Ph(-) – leczenie choroby resztkowej (ICD-10: C91.0), w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych”. Data ukończenia: 2 sierpnia 2019 r.

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

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem (Amgen Europe B.V.) o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

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

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

**Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności:** (Amgen Europe B.V.).





## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 234/2019 z dnia 5 sierpnia 2019 roku

o projekcie programu „Program profilaktyczny wczesnego wykrywania raka gruczołu krokowego u mężczyzn w wieku 50-75 lat na terenie Powiatu Częstochowskiego w latach 2019-2023”

*Rada Przejrzystości opiniuje negatywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyczny wczesnego wykrywania raka gruczołu krokowego u mężczyzn w wieku 50-75 lat na terenie Powiatu Częstochowskiego w latach 2019-2023”.*

#### Uzasadnienie

*Przedstawiany program dotyczy wczesnego wykrywania raka gruczołu krokowego w oparciu o populacyjne badanie przesiewowe PSA z badaniem jamy brzusznej, program edukacyjno-informacyjny oraz badanie per rectum.*

*Badanie PSA oraz wstępna ocena gruczołu krokowego są świadczeniami dostępnymi w ramach POZ i AOS.*

*Nie udowodniono, jak dotychczas, że badania przesiewowe w kierunku obecności raka gruczołu krokowego zmniejszają śmiertelność z tego powodu, dlatego nadal jest podtrzymywane stanowisko o braku uzasadnienia do ich prowadzenia. Dostępne dowody naukowe nie stanowią wystarczających przesłanek do wdrażania masowego skryningu w kierunku raka prostaty. Zasadniczymi wadami badań przesiewowych są: brak potwierdzenia obecności raka wobec ograniczonej czułości biopsji stercza oraz — przede wszystkim — nadrozpoznawalność RGK spowodowaną wynikami fałszywie dodatnimi oraz wykrywaniem nowotworów nie mających znaczenia klinicznego i niestanowiących uzasadnionego wskazania do leczenia radykalnego.*

*Zasadnicze znaczenie dla rozpoznania RGK nadal ma określenie stężenia PSA w surowicy, chociaż wiadomo, że marker ten nie jest swoisty dla RGK (jego stężenie wzrasta m.in. w następstwie rozrostu łagodnego oraz zapalenia stercza).*

*Przypuszczalne korzyści wynikające z programów opartych o skryning populacyjny nie są wystarczającymi przesłankami dla realizacji takich programów na dużą skalę. Brak jest wiedzy na temat ewentualnego ograniczenia śmiertelności z powodu raka prostaty w wyniku badań przesiewowych.*



W żadnym z odnalezionych przeglądów nie zaobserwowano istotnej statystycznie redukcji w odniesieniu do RR w śmiertelności z powodu RGK ani śmiertelności ogólnej, przy prowadzeniu badań przesiewowych opartych na PSA.

UK NSC podtrzymuje decyzję o braku rekomendacji prowadzenia populacyjnych badań przesiewowych w kierunku raka stercza wśród mężczyzn powyżej 50 r.ż. Nie należy kierować pacjentów na biopsję jedynie na podstawie wyników badania PSA. Wiele nowotworów zdiagnozowanych na podstawie samego oznaczenia PSA będzie niskiego ryzyka i będą miały niewielki lub żaden wpływ na długość życia.

Wartość predykcyjna wyniku dodatniego w przypadku skryningu w ogólnej populacji mężczyzn w wieku >50 r. ż. mieści się zakresie od 28% do 35%, co oznacza, że spośród mężczyzn z PSA >4 ng/ml u ok. 70% nie stwierdza się raka stercza.

Poza tym pewien niewielki odsetek mężczyzn z prawidłowym wynikiem badania PSA będzie miał RGK. Wiele nowotworów prostaty wykrytych za pomocą testu PSA są to nowotwory wolno rosnące, niezagrażające życiu, zatem mogą nie wywołać żadnych szkód podczas całego życia.

Pomimo tego, że u niemal 17% mężczyzn w ciągu życia rozpoznany zostanie rak gruczołu krokowego, z jego powodu umrze niecałe 3%.

Odnalezione rekomendacje są zgodne co do tego, że prowadzenie czynnych badań przesiewowych w kierunku raka gruczołu krokowego w populacji bezobjawowych mężczyzn, nie ma uzasadnienia. Populacyjne badania przesiewowe w kierunku RGK mogą być korzystne, jednak kosztem nadwykrywalności i niepotrzebnego leczenia, przez co nie są rekomendowane. Odnalezione wytyczne zwracają uwagę, że warto skoncentrować się na realizacji programów skryningu oportunistycznego.

W istocie program doprowadzi do zwiększenia wykrywalności podwyższonego PSA, co może się przyczynić do zwiększenia wykrywalności RGK na poziomie 30%. Jednak odsetek pacjentów odnoszących realne korzyści z jego leczenia ostatecznie wynosić będzie kilka procent.

Z negatywnych uwag co do samego programu należy wymienić:

- nieprawidłowym postępowaniem jest wykonanie najpierw badania per rectum a następnie badania PSA bez zachowania zalecanego odstępu czasu.
- brak jest określenia wartości PSA, która będzie wskazaniem do dalszego postępowania medycznego.
- brak jest opisu planowanych kosztów i programu oraz budżetu.
- brak jest odniesienia do monitorowania i ewaluacji programu.

*W chwili obecnej za najwłaściwszą strategię profilaktyki raka gruczołu krokowego Rada uznaje skryning oportunistyczny.*

**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 2019 r., poz. 1373), z uwzględnieniem raportu nr: OT.441.79.2019 „Program profilaktyczny wczesnego wykrywania raka gruczołu krokowego u mężczyzn w wieku 50-75 lat na terenie Powiatu Częstochowskiego w latach 2019-2023” realizowany przez: Powiat częstochowski, Warszawa, lipiec 2019 oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy wczesnego wykrywania raka gruczołu krokowego – wspólne podstawy oceny”, grudzień 2018.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

### Opinia Rady Przejrzystości nr 235/2019 z dnia 5 sierpnia 2019 roku o projekcie programu „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania boreliozy w populacji osób dorosłych w Gminie Stepnica na lata 2019-2023”

*Rada Przejrzystości opiniuje negatywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania boreliozy w populacji osób dorosłych w Gminie Stepnica na lata 2019-2023”.*

#### Uzasadnienie

*Celem głównym programu jest zmniejszenie liczby zachorowań na boreliozę wśród dorosłych mieszkańców gminy poprzez działania informacyjno-edukacyjne prowadzone w populacji docelowej. Celami dodatkowymi są zmniejszenie liczby powikłań zakażeń boreliozy poprzez wczesne wykrycie choroby dzięki zwiększeniu dostępności do badań przesiewowych, wzrost wykrywalności boreliozy w populacji docelowej, poszerzenie wiedzy i świadomości zdrowotnej mieszkańców w zakresie profilaktyki, czynników ryzyka oraz możliwości ograniczenia zachorowalności na boreliozę.*

*Diagnostyka laboratoryjna boreliozy będzie polegała na wykrywaniu swoistych przeciwciał testem ELISA. W przypadku dodatniego wyniku testu (po odbyciu wizyty lekarskiej u realizatora) pacjent będzie skierowany do dalszego leczenia w poradni chorób zakaźnych (poza programem).*

*Profilaktyka chorób przenoszonych przez kleszcze w Polsce realizowana jest poprzez różne akcje informacyjno-edukacyjne, w tym Ministra Zdrowia (MZ) oraz Państwową Inspekcję Sanitarną (PIS). Wstępne rozpoznanie, diagnostyka chorób odkleszczowych finansowana jest ze środków publicznych. Testy diagnostyczne (serologiczne) w kierunku zachorowań na boreliozę z Lyme, stanowią część gwarantowanych świadczeń medycznych z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej (AOS), kontraktowanych przez Narodowy Fundusz Zdrowia.*

*Test przesiewowy ELISA cechuje wysoka czułość, ale niska swoistość, co też jest przyczyną wyników fałszywie dodatnich. Zgodnie z rekomendacjami, jak i opiniami ekspertów, diagnostyka laboratoryjna boreliozy powinna opierać się na zastosowaniu dwuetapowego protokołu diagnostycznego, polegającego na wykrywaniu swoistych przeciwciał testem ELISA oraz w przypadku dodatniego*



*bądź wątpliwie dodatniego wyniku potwierdzenie badania metodą Western blot Wnioskodawca nie przewidział przeprowadzania w ramach programu diagnostyki przy użyciu metody Western blot. Badanie tą metodą ma się odbyć na podstawie skierowania z placówki POZ poza programem.*

*Testy ELISA dają zbyt duże pole do błędów interpretacyjnych aby mogły być traktowane jako testy przesiewowe. Z powodu okienka serologicznego znaczną część zakażeń borelią testem ELISA wykrywa się już w fazie powikłań. Eksperci podkreślają, że programy profilaktyczne oparte o realizację wyłącznie badań diagnostycznych w celu rozpoznania zachorowania na boreliozę z Lyme mogą spowodować nieuzasadnione opóźnienie lub niepotrzebne wszczęcie procedur medycznych. W procesie leczenia istotne znaczenie ma krótki czas rozpoczęcia terapii poekspozycyjnej czyli czasu od momentu stwierdzenia ukąszenia przez kleszcza.*

*Wyniki testów serologicznych mogą być jedynie wsparciem dla postawionej diagnozy z uwzględnieniem potencjalnych objawów klinicznych choroby odkleszczowej, tj. boreliozy. Rozpoznanie boreliozy nie powinno być oparte tylko na pozytywnych wynikach testów serologicznych, ale również na rzeczywistym obrazie klinicznym pacjenta. Dodatni wynik badania serologicznego bez objawów klinicznych typowych dla boreliozy nie upoważnia do rozpoznania choroby i jej leczenia.*

*Głównym założeniem projektu programu jest „zmniejszenie liczby zachorowań na boreliozę poprzez działania prowadzone w programie wśród dorosłych mieszkańców gminy Stepnica”. Biorąc jednak pod uwagę charakter prowadzonych działań, nastawionych głównie na prowadzenie skryningu, realizacja ww. celu może okazać się niemożliwa.*

*Wykazano, że przypadku boreliozy jak w przypadku wszystkich chorób odzwierzęcych najbardziej skuteczną jest profilaktyka pierwotna. Zaleca się stosowanie nieswoistych metod ochrony przed kleszczami: szczelne ostonięcie skóry podczas pobytu na terenach łąkowo-leśnych, stosowanie tzw. repelentów (środki odstraszające kleszcze, najlepiej z (DEET) lub permetryny, dokładna kontrola całej skóry po każdym powrocie z terenów łąkowo-leśnych (szczególnie pachwiny, pachy, za małżowinami usznymi, fałdy skórne), jak najszybsze usunięcie kleszcza za pomocy specjalnych haczyków, lassem lub wąskich szczypczyków (jeśli w skórze pozostanie część głowowa kleszcza wskazana dezynfekcja), ochrona zwierząt domowych (repelenty dla zwierząt, kontrola skóry zwierzęcia, usunięcie kleszcza).*

*W samym programie zidentyfikowano kilka wad.*

*Nie wszystkie mierniki odnoszą się do celów zawartych w programie. Pierwszy oraz drugi miernik nie odnoszą się bezpośrednio do celów programu.*

*Nie przytoczono mierników dla założenia głównego oraz dwóch pierwszych celów szczegółowych.*

*Nie przytoczono mierników dla celów dotyczących zmniejszenia liczby zachorowań na boreliozę oraz zmniejszenia liczby powikłań z niej wynikających.*

*Interwencje przewidziane w ramach programu mogą przyczynić się do wczesnego wykrycia choroby i wcześniejszego rozpoczęcia leczenia, a co za tym idzie ograniczenia liczby powikłań. Nie przedstawiono jednak wartości wyjściowych powikłań zakażeń borelią. W związku z tym utrudnione będzie wnioskowanie dot. uzyskanego efektu zdrowotnego (podobnie jak w przypadku celu dotyczącego wzrostu wykrywalności boreliozy). Prawdopodobnym efektem programu będzie wzrost wykrywalności przeciwciał antyboreliowch bez możliwości oceny liczby wyników fałszywie dodatnich (część związanych z chorobami ogólnoustrojowymi jak niektóre choroby autoimmunologiczne a część z pozytywną reakcją testu z krętkami niepatogennymi, niektórymi przewlekłymi infekcjami wirusowymi jak EBV, HSV) co przy braku objawów klinicznych będzie skutkować nadrozpoznowalnością boreliozy. Zaplanowany cel obniżenia zachorowalności co w warunkach programu w istocie będzie tożsame z wykrywalności z całą pewnością nie będzie zrealizowany.*

#### **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 2019 r., poz. 1373), z uwzględnieniem raportu nr: OT.441.86.2019 „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania boreliozy w populacji osób dorosłych w Gminie Stepnica na lata 2019-2023” realizowany przez: Gminę Stepnica, Warszawa, lipiec 2019 oraz Aneksu „Programy z zakresu profilaktyki i wczesnej diagnostyki boreliozy i innych chorób odkleszczowych – wspólne podstawy oceny” z listopada 2016.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 236/2019 z dnia 5 sierpnia 2019 roku

o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców gminy Żary na lata 2020-2022”

*Rada Przejrzystości opiniuje negatywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców gminy Żary na lata 2020-2022”.*

#### Uzasadnienie

*Projekt nie spełnia kryteriów wskazanych w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z 22 grudnia 2017 r. Ponadto, program powinien w sposób jasny i precyzyjny wskazywać kto kwalifikuje pacjentów do programu i opracowuje plan indywidualnej rehabilitacji oraz kto podejmuje dalszą rehabilitację.*

*Przedmiotem oceny jest projekt programu polityki zdrowotnej zaplanowany do realizacji przez gminę Żary w zakresie rehabilitacji leczniczej, zakładający przeprowadzenie cyklu rehabilitacyjnego dla mieszkańców gminy w wieku 65 lat i więcej, z rozpoznaniem choroby przewlekłej lub zapalnej układu ruchu, urazu lub choroby obwodowego układu nerwowego. Program ma objąć działaniami ok. 100 mieszkańców gminy rocznie. Okres realizacji zaplanowano na lata 2020-2022. Całkowity koszt realizacji został oszacowany na 162 000 zł.*

*Cel główny: przywrócenie pełnej lub maksymalnie możliwej sprawności fizycznej co najmniej 100 mieszkańcom gminy Żary rocznie, dotkniętych problemem urazów, chorób obwodowego układu nerwowego lub chorób układu ruchu.*

*W ramach programu przeprowadzona ma zostać również akcja edukacyjna obejmująca 45-minutowe spotkanie w grupach max. 20-osobowych prowadzone przez pielęgniarkę lub fizjoterapeutę, o proponowanej tematyce: rola diety oraz suplementacji diety, a także aktywności fizycznej oraz ergonomii pracy w profilaktyce wtórnej chorób układu ruchu oraz urazów, zapobieganie wypadkom i zranieniom, istotność prowadzenia zdrowego trybu życia, sposoby radzenia sobie ze stresem.*

*Populację docelową programu stanowią mieszkańcy gminy Żary w wieku 65 lat i więcej z rozpoznaniem choroby przewlekłej lub zapalnej układu ruchu, urazu lub choroby obwodowego układu nerwowego.*



Wszystkie zaplanowane przez wnioskodawcę interwencje znajdują się w wykazie świadczeń gwarantowanych zgodnie z Obwieszczeniem Ministra Zdrowia z dnia 30 stycznia 2018 r. w sprawie ogłoszenia jednolitego tekstu rozporządzenia Ministra Zdrowia w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu rehabilitacji leczniczej, co stwarza warunki dla możliwości podwójnego finansowania tej samej procedury.

Niepełnosprawność jest poważnym problemem społecznym zarówno w wymiarze jednostkowym, rodzinnym, jak i ogólnospołecznym. Wszelkie działania zmierzające do optymalizacji procesu rehabilitacji osób niepełnosprawnych zasługują na uwagę i poparcie. Projekt programu posiada jednak pewne niedociągnięcia.

W treści projektu wskazano 4 cele szczegółowe oraz 4 mierniki efektywności. Cele szczegółowe 2 i 3 zostały sformułowane w formie uniemożliwiającej ich pomiar. Ponadto należy stwierdzić, że zgodnie z instrukcją (AOTMiT. Praktyczne wskazówki dotyczące planowania, wdrażania oraz realizacji programów polityki zdrowotnej. Pozyskano z [http://www.aotm.gov.pl/www/wp-content/uploads/2016/08/Instrukcja\\_PPZ.pdf](http://www.aotm.gov.pl/www/wp-content/uploads/2016/08/Instrukcja_PPZ.pdf), dostęp z 22.07.2019 r.) w trakcie definiowania celów niezbędne jest określenie konkretnych wartości, które będzie można zmierzyć po zakończeniu programu. W przytoczonych celach brakuje tego elementu. Wskaźniki 1 i 2 nie spełniają funkcji mierników efektywności, mogą być natomiast wykorzystane podczas monitorowania programu.. Należy zaznaczyć, że zgodnie z definicją mierniki efektywności powinny umożliwiać obiektywną i precyzyjną ocenę stopnia realizacji celów oraz powinny być istotnym odzwierciedleniem zdarzeń lub faktów występujących w danym programie wyrażonych w odpowiednich jednostkach miary.

Warto zauważyć, że ze względu na ograniczoną liczbę zabiegów realizacja celu może okazać się utrudniona.

#### Uwagi

Plan rehabilitacji powinien być dostosowany do potrzeb wynikających ze stanu chorego, zakresu potrzebnej pomocy fizjoterapeutycznej, kompleksowości, ciągłości i stopnia zaawansowania procesu rehabilitacji, natomiast pacjenci powinni otrzymywać tyle świadczeń terapeutycznych ile „potrzebują” i są w stanie tolerować, aby przystosować, odzyskać i/lub wrócić do optymalnego osiągnięcia niezależności funkcjonowania.

Rada uważa, że:

1. Stosowane powinny być wyłącznie metody o udowodnionej skuteczności (kinezyterapia).
2. Miernikiem efektu powinna być zobiektywizowana poprawa w zakresie stanu czynnościowego pacjenta, a nie sam udział w programie.



3. *Przedstawiony cel główny nie został sformułowany w pełni zgodnie z zasadą S.M.A.R.T., nie jest precyzyjny, co utrudnia pomiar efektywności.*
4. *Wnioskodawca powinien wykazać mechanizmy zabezpieczające przed podwójnym finansowaniem tej samej procedury.*

**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 2019 r., poz. 1373), z uwzględnieniem raportu nr: OT.441.81.2019 „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców gminy Żary na lata 2020-2022” realizowany przez: Gminę Żary, Warszawa, lipiec 2019 oraz Aneksu „Programy z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży” z sierpnia 2016 r.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 237/2019 z dnia 5 sierpnia 2019 roku

o projekcie programu „Wsparcie rehabilitacyjne dla seniorów (osób przewlekle chorych) - mieszkańców Gminy Tarnowo Podgórne”

*Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Wsparcie rehabilitacyjne dla seniorów (osób przewlekle chorych) - mieszkańców Gminy Tarnowo Podgórne”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.*

#### Uzasadnienie

*Projekt programu odnosi się do problemu zdrowotnego, jakim jest „rehabilitacja” należący do priorytetów zdrowotnych wymienionych w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 27 lutego 2018 r. (Dz.U. 2018 poz. 469).*

*W programie wskazano populację objętą interwencjami, podając kryteria kwalifikacji. Osoby zamieszkałe na terenie gminy Tarnowo Podgórne które mają rozpoznaną chorobę przewlekłą lub zapalną układu ruchu, oraz uzyskają skierowanie od lekarza specjalisty lub lekarza rodzinnego.*

*Celem programu zwiększenie komfortu życia osób po 60 roku życia z dysfunkcją narządu ruchu (choroby kończyn, stawów, kręgosłupa, bioder itp.) poprzez włączenie ich do programu rehabilitacji i zachęcenie do zwiększenia aktywności fizycznej co ma przyczynić się na zmniejszenie zgłaszalności do fizjoterapeutów.*

*Niepełnosprawność jest poważnym problemem społecznym zarówno w wymiarze jednostkowym, rodzinnym, jak i ogólnospołecznym. Wszelkie działania zmierzające do optymalizacji procesu rehabilitacji osób niepełnosprawnych zasługują na uwagę i poparcie. Na komfort życia wpływ ma wiele czynników, z których większość jest niezależnych od udziału w przedstawionym programie.*

*Samorządowe programy zdrowotne (aktualnie programy polityki zdrowotnej) z zakresu rehabilitacji osób niepełnosprawnych były już wielokrotnie prezentowane na posiedzeniach Rady Przejrzystości. W wydanych opiniach przeważały opinie pozytywne. Programy polityki zdrowotnej poświęcone działaniom zapobiegającym wystąpieniu oraz pogłębieniu niepełnosprawności zwykle nie są programami o dobrze zdefiniowanym problemie zdrowotnym.*



*Wnioskodawca nie przedstawił danych światowych ani krajowych dotyczących epidemiologii omawianego zagadnienia.*

*Cel główny został sformułowany zbyt ogólnie w formie uniemożliwiającej jego obiektywny pomiar.*

*Żaden z przedstawionych wskaźników nie spełnia funkcji miernika efektywności, mogą być one natomiast wykorzystane podczas monitorowania. Należy zaznaczyć, że zgodnie z definicją mierniki efektywności powinny umożliwiać obiektywną i precyzyjną ocenę stopnia realizacji celów.*

*Wszystkie cele programu zostały sformułowane w postaci działań. Ponadto cele szczegółowe, oprócz celu 3 nie odnoszą się do efektu zdrowotnego. Przedstawione cele nie zostały sformułowane w pełni zgodnie z zasadą S.M.A.R.T. W projekcie wnioskodawca wskazał, że każdy z zakwalifikowanych pacjentów otrzyma łącznie do 30 zabiegów w ramach 5-10 dniowego cyklu zabiegów dostosowanych do konkretnego problemu zdrowotnego, składających się z kinezyterapii i zabiegów fizykoterapii oraz w razie konieczności masażu leczniczego.*

*Wnioskodawca nie odniósł się do dowodów naukowych dotyczących stosunku kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych działań wykorzystywanych w programie.*

*Wnioskodawca w budżecie założył kwotę 500 zł na przeprowadzenie 5-10 – dniowego cyklu zabiegów składającego się z: edukacji i promocji zwiększania aktywności fizycznej, zabiegów kinezyterapii, zabiegów fizykoterapeutycznych i masażu leczniczego.*

*Koszty całkowite programu zostały oszacowane na 300 000 zł (100 000 zł rocznie).*

*Należy podkreślić, że wszystkie zaplanowane przez wnioskodawcę interwencje fizjoterapeutyczne i kinezyterapeutyczne znajdują się w wykazie świadczeń gwarantowanych z zakresu rehabilitacji leczniczej zgodnie z Obwieszczeniem Ministra Zdrowia z dnia 30 stycznia 2018 r. w sprawie ogłoszenia jednolitego tekstu rozporządzenia Ministra Zdrowia w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu rehabilitacji leczniczej co stwarza warunki dla możliwości podwójnego finansowania tej samej procedury.*

*Uwagi*

*Plan rehabilitacji powinien być dostosowany do potrzeb wynikających ze stanu chorego, zakresu potrzebnej pomocy fizjoterapeutycznej, kompleksowości, wczesności i ciągłości procesu rehabilitacji, natomiast pacjenci powinni otrzymywać tyle świadczeń terapeutycznych ile „potrzebują” i są w stanie tolerować, aby przystosować, odzyskać i/lub wrócić do optymalnego osiągnięcia niezależności funkcjonowania.*

1. Rada uważa, że stosowane powinny być wyłącznie metody o udowodnionej skuteczności (kinezyterapia).
2. Miernikiem efektu powinna być zobiektywizowana poprawa w zakresie stanu czynnościowego pacjenta, a nie sam udział w programie.
3. Przedstawiony cel główny nie został sformułowany w pełni zgodnie z zasadą S.M.A.R.T., nie jest precyzyjny, co utrudnia pomiar efektywności.
4. wnioskodawca powinien wykazać mechanizmy zabezpieczające przed podwójnym finansowaniem tej samej procedury.

#### **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 2019 r., poz. 1373), z uwzględnieniem raportu nr: OT.441.85.2019 „Wsparcie rehabilitacyjne dla seniorów (osób przewlekle chorych) - mieszkańców Gminy Tarnowo Podgórne” realizowany przez: Gminę Tarnowo Podgórne, Warszawa, lipiec 2019 oraz Aneksu „Programy z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży” z sierpnia 2016 r.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 238/2019 z dnia 5 sierpnia 2019 roku

o projekcie programu „Program zdrowotny szczepień przeciw meningokokom dla dzieci z Gminy Sandomierz na lata 2019-2023”

*Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program zdrowotny szczepień przeciw meningokokom dla dzieci z Gminy Sandomierz na lata 2019-2023”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.*

#### Uzasadnienie

*Celem głównym PPZ jest zwiększenie skuteczności zapobiegania zakażeniom meningokokowym poprzez zaszczepienie szczepionką przeciwko Neisseria meningitidis typu A,C W135, Y minimum 70% populacji docelowej dzieci urodzonych w latach 2018 - 2022. Populacja zaplanowana do szczepienia w opiniowanym PPZ to dzieci w wieku 12-24 m.ż. z gminy Sandomierz, urodzone w latach 2018-2022. Zaplanowane w PPZ interwencje przewidują szczepienia przeciw Neisseria meningitidis i przeprowadzenie akcji informacyjno-edukacyjnej. W projekcie wskazano również 6 celów szczegółowych i 3 mierniki efektywności. Natomiast okres realizacji programu został wyznaczony na lata 2019-2023.*

*Opiniowany projekt wpisuje się w priorytet: „zwiększenie skuteczności zapobiegania chorobom zakaźnym i zakażeniom, w tym przeciwdziałanie skutkom nieprawidłowej antybiotykoterapii”, należący do priorytetów zdrowotnych wymienionych w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dn. 27 lutego 2018 r. (Dz.U. z 2018 r., poz. 469).*

*Należy zauważyć, że przedstawione w PPZ cele nie zostały sformułowane zgodnie z zasadą S.M.A.R.T. Nieprawidłowo sformułowano cel główny, jak również cele szczegółowe, które są ogólne i tym samym uniemożliwiają prawidłowe określenie wskaźników pozwalających na pomiar efektywności PPZ. Stąd zaplanowane mierniki efektywności uniemożliwiają ewaluację programu - nie spełniają swoich funkcji (mierniki powinny umożliwiać obiektywną i precyzyjną ocenę stopnia realizacji wyznaczonych celów oraz powinny być istotnym odzwierciedleniem zdarzeń lub faktów występujących w danym programie, wyrażonych w odpowiednich jednostkach miary).*



*Nieprawidłowo zaplanowano także monitorowanie programu, opisując je w sposób ogólny, nie przedstawiono wzoru kwestionariusza ankiety – narzędzia do monitorowania PPZ. Zastrzeżenia budzi ewaluacja PPZ, która powinna wskazywać możliwość porównania stanu sprzed wprowadzenia działań w ramach programu, a stanem po jego zakończeniu. Brak informacji o przygotowaniu protokołu edukacyjnego (przewodnika), na podstawie którego realizowana będzie edukacja powoduje, że nie ma pewności co do spójności przekazywanych treści przez osoby realizujące interwencję. Zaplanowany przez realizatora budżet może okazać się niewystarczający.*

#### **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 2019 r., poz. 1373), z uwzględnieniem raportu nr: OT.441.80.2019 „Program zdrowotny szczepień przeciw meningokokom dla dzieci z Gminy Sandomierz na lata 2019-2023” realizowany przez: Gminę Sandomierz, Warszawa, lipiec 2019 oraz Aneksu „Programy profilaktyki zakażeń meningokokowych – wspólne podstawy oceny” z listopada 2015 r.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 239/2019 z dnia 5 sierpnia 2019 roku

o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej w zakresie profilaktyki zakażeń meningokokowych na lata 2019-2023 w Gminie Jaworze”

*Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej w zakresie profilaktyki zakażeń meningokokowych na lata 2019-2023 w Gminie Jaworze”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.*

#### Uzasadnienie

*Celem głównym PPZ jest zwiększenie skuteczności zapobiegania zakażeniom meningokokowym poprzez zaszczepienie szczepionką przeciwko Neisseria meningitidis minimum 50% populacji docelowej dzieci urodzonych w latach 2018-2022 r. (po 12 miesiącu życia). Populacja zaplanowana w PPZ to dzieci zameldowane w gminie Jaworze w wieku 12-24 m.ż. Zaplanowane w PPZ interwencje: szczepienia przeciw Neisseria meningitidis i przeprowadzenie akcji informacyjno-edukacyjnej. Opiniowany projekt wpisuje się w priorytet: „zwiększenie skuteczności zapobiegania chorobom zakaźnym i zakażeniom, w tym przeciwdziałanie skutkom nieprawidłowej antybiotykoterapii”, należący do priorytetów zdrowotnych wymienionych w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dn. 27 lutego 2018 r. (Dz.U. z 2018 r., poz. 469). W projekcie wskazano również 4 cele szczegółowe i 3 mierniki efektywności. Okres realizacji programu został wyznaczony na lata 2019-2023.*

*Należy zauważyć, że przedstawione w PPZ cele nie zostały sformułowane zgodnie z zasadą S.M.A.R.T. Nieprawidłowo sformułowano cel główny, jak również cele szczegółowe. Wskazane przez wnioskodawcę mierniki efektywności uniemożliwiają ewaluację programu. Dodatkowo, nieprawidłowo zaplanowano monitorowanie programu, jak również ewaluację, która powinna wskazywać możliwość porównania stanu sprzed wprowadzenia działań w ramach programu, a stanem po jego zakończeniu. Wskazanie przez wnioskodawcę konkretnego realizatora PPZ jest również niezgodne z założeniami realizacji PPZ, gdzie jest mowa o jego wyborze w drodze konkursu. Ponadto, nie określono rodzaju działań edukacyjnych, ich liczby oraz grupy docelowej, jak również formy*



*i środków/narzędzi. Brak informacji o przygotowaniu protokołu edukacyjnego (przewodnika), na podstawie którego realizowana będzie edukacja powoduje, że nie ma pewności co do spójności przekazywanych treści przez osoby realizujące interwencję.*

**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 2019 r., poz. 1373), z uwzględnieniem raportu nr: OT.441.84.2019 „Program polityki zdrowotnej w zakresie profilaktyki zakażeń meningokokowych na lata 2019-2023 w Gminie Jaworze” realizowany przez: Gminę Jaworze, Warszawa, lipiec 2019 oraz Aneksu „Programy profilaktyki zakażeń meningokokowych – wspólne podstawy oceny” z listopada 2015 r.





## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

### Opinia Rady Przejrzystości nr 240/2019 z dnia 5 sierpnia 2019 roku o projekcie programu „Fizjoterapia dla mieszkańców Gminy Kamieńsk”

*Rada Przejrzystości opiniuje negatywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Fizjoterapia dla mieszkańców Gminy Kamieńsk”.*

#### **Uzasadnienie**

*Projekt programu odnosi się do problemu zdrowotnego, jakim jest „rehabilitacja”, priorytetu zdrowotnego o którym mowa w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 27 lutego 2018 r. (Dz.U. 2018 poz. 469).*

*Zaproponowany cel główny PPZ, to zwiększenie dostępności mieszkańcom gminy Kamieńsk, do zabiegów fizjoterapeutycznych oraz poprawa jakości życia osób niepełnosprawnych poprzez przywracanie im sprawności ruchowej. Wskazano również sześć celów szczegółowych, jednakże zdecydowana ich większość to działania, co jak w przypadku celu głównego, uniemożliwia obiektywny pomiar osiągniętych efektów.*

*Zaplanowane w PPZ interwencje, to: kinezyterapia – indywidualna praca z pacjentem (np. ćwiczenia bierne, czynno-bierne), ćwiczenia wspomagane, ćwiczenia czynne w odciążeniu i czynne w odciążeniu z oporem, ćwiczenia czynne wolne i czynne z oporem, ćwiczenia izometryczne, nauka czynności lokomocji, wyciągi; fizjoterapia – elektrolecznictwo, ultrasonoterapia, światłolecznictwo, magnetoterapia, masaż mechaniczny. Brak jest wyceny poszczególnych zabiegów i wnioskodawca wskazał jednoznacznie podmiot realizujący interwencje, co wyklucza prawidłowe przeprowadzenie realizacji PPZ. Nie oszacowano też liczby osób, do których kierowany jest program.*

*Data realizacji, ocenianego PPZ, wskazuje na jego rozpoczęcie przed złożeniem do oceny w AOTMiT.*

*W PPZ wskazano cztery mierniki efektywności programu. Nie wskazano natomiast narzędzi do oceny jakości życia, czy też pozwalających sklasyfikować poziom funkcjonowania przed i po programie, jak np. ICF, czy ADL i I-ADL.*



**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 2019 r., poz. 1373), z uwzględnieniem raportu nr: OT.441.92.2019 „Fizjoterapia dla mieszkańców Gminy Kamieńsk” realizowany przez: Gminę Kamieńsk, Warszawa, lipiec 2019 oraz Aneksu „Programy z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży” z sierpnia 2016 r.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

Opinia Rady Przejrzystości  
nr 241/2019 z dnia 5 sierpnia 2019 roku  
o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej w zakresie  
rehabilitacji leczniczej mieszkańców gminy Małkinia Górna  
na lata 2020-2024”

*Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców gminy Małkinia Górna na lata 2020-2024”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.*

### Uzasadnienie

*Projekt programu odnosi się do problemu zdrowotnego, jakim jest „rehabilitacja”, priorytetu zdrowotnego o którym mowa w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 27 lutego 2018 r. (Dz.U. 2018 poz. 469).*

*Zaproponowany cel główny PPZ, to przywrócenie pełnej lub maksymalnie możliwej sprawności fizycznej co najmniej 120 mieszkańcom gminy Małkinia Górna rocznie, dotkniętych problemem urazów, chorób obwodowego układu nerwowego lub chorób układu ruchu, poprzez kompleksowe działania edukacyjne i rehabilitacyjne prowadzone na terenie gminy w latach 2020-2024.*

*W PPZ wskazano cztery cele szczegółowe, które sformułowano w sposób prawidłowy i umożliwiający pomiar osiągniętego efektu, przy prawidłowym sformułowaniu mierników. Zaplanowane interwencje, to: Kinezyterapia, masaże, elektrolecznictwo, leczenie polem elektromagnetycznym, światłolecznictwo i termoterapia, hydroterapia, krioterapia, balneoterapia; działania edukacyjne.*

*W PPZ wskazano cztery mierniki efektywności programu. Projekt PPZ zakłada przeprowadzenie jego monitorowania i ewaluacji.*

*Program ma być sfinansowany ze środków gminy Małkinia Górna. Koszty jednostkowe wynoszą 460 zł - koszt uczestnictwa w programie, w tym koszt indywidualnego planu rehabilitacyjnego (440 zł) oraz działań edukacyjnych (20 zł); 500 zł - koszt akcji informacyjnej; 500 zł - koszt monitoringu i ewaluacji. Koszty całkowite zostały określone na 281 000 zł.*

*Wnioskodawca nie odniósł się do dowodów naukowych dotyczących stosunku kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych działań wykorzystywanych w programie. Gmina będzie starała się o dofinansowanie 40% kosztów działań*



realizowanych w programie przez Mazowiecki Oddział Narodowego Funduszu Zdrowia.

*Uwagi Rady:*

- 1. Wskaźniki 1 i 2 nie spełniają funkcji mierników efektywności.*
- 2. Wyniki badań wskazują na istotność interwencji edukacyjnych w zwiększeniu skuteczności rehabilitacji. Zaplanowana akcja edukacyjna, polegająca na 45-minutowych spotkaniach w grupach 20-osobowych, gdzie poruszana będzie tematyka, taka jak: rola diety oraz suplementacji diety, a także aktywności fizycznej oraz ergonomii pracy w profilaktyce wtórnej chorób układu ruchu oraz urazów, zapobieganie wypadkom i zranieniom, istotność prowadzenia zdrowego trybu życia, sposoby radzenia sobie ze stresem wraz z pomiarem efektów nauczania, jest trudna do realizacji w tak krótkim czasie, natomiast jako działanie jednorazowe może okazać się nieefektywne.*
- 3. Brak wzorów kwestionariuszy ankiet do oceny poziomu kompetencji zdrowotnych uczestników PPZ.*
- 4. Ewaluacja efektów interwencji winna być prowadzona w oparciu o dostępne narzędzia do oceny, jak np. ICF, czy ADL i I-ADL, pozwalające na ocenę postępów w funkcjonowaniu i pozwolić na zaplanowanie dalszych interwencji.*

#### **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 2019 r., poz. 1373), z uwzględnieniem raportu nr: OT.441.102.2019 „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców gminy Małkinia Górna na lata 2020-2024” realizowany przez: Gminę Małkinia Górna, Warszawa, lipiec 2019 oraz Aneksu „Programy z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży” z sierpnia 2016 r.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 242/2019 z dnia 5 sierpnia 2019 roku

o projekcie programu „ZDROWA JESIEŃ - profilaktyczne szczepienia przeciwko grypie mieszkańców Suwałk powyżej 65 roku życia”

*Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „ZDROWA JESIEŃ - profilaktyczne szczepienia przeciwko grypie mieszkańców Suwałk powyżej 65 roku życia”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady oraz zawartych w raporcie AOTMiT.*

#### Uzasadnienie

*Oceniany projekt programu wpisuje się w priorytet zdrowotny „zwiększenie skuteczności zapobiegania chorobom zakaźnym i zakażeniom, w tym przeciwdziałanie skutkom nieprawidłowej antybiotykoterapii”, wymienionych w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 27 lutego 2018 r. (Dz.U. 2018 poz. 469).*

*Wnioskodawca w prawidłowy sposób opisał wybrany problem zdrowotny, jakim jest grypa, będąca ostrą chorobą zakaźną wywołaną przez zakażenie układu oddechowego wirusem grypy. Grypę sezonową najczęściej wywołują wirusy typu A (podtypy H1N1 i H3N2, a w niektórych sezonach H2N2), w mniejszym stopniu wirusy grypy B. W świetle danych NIZP-PZH za 2017 r. w Polsce odnotowano około 5 mln przypadków zachorowań i podejrzeń zachorowań na grypę. Do czynników ryzyka ciężkiego przebiegu i powikłań grypy (w tym hospitalizacji i zgonu) należy m.in. wiek  $\geq 65$  czy niektóre choroby przewlekłe. We wniosku przywołano krajowe, regionalne i lokalne dane epidemiologiczne.*

*Szczepienia ochronne stanowią podstawową metodę profilaktyki przeciw grypie. Znajdują się one w grupie szczepień zalecanych, ale niefinansowanych ze środków znajdujących się w budżecie Ministra Zdrowia. Na liście leków refundowanych znajduje się natomiast szczepionka czterowalentna, z odpłatnością dla pacjenta w wieku 65 lub więcej na poziomie 50% (wysokość dopłaty świadczeniobiorcy wynosi 22,88 zł). Wirusy grypy A charakteryzuje duża zmienność antygenowa, która powoduje ryzyko zachorowania każdego roku i konieczność corocznej aktualizacji składu szczepionek. Najlepiej przeprowadzać szczepienie na początku sezonu epidemicznego, tj. w okresie od września do połowy listopada. Wskazane jest ponadto prowadzenie kampanii*



informacyjno-edukacyjnej, której celem powinno być przede wszystkim uzyskanie założonego odsetka osób, które w danym sezonie epidemicznym zaszczepiły się przeciwko grypie.

Głównym założeniem opiniowanego programu jest „zmniejszenie liczby podejrzeń i zachorowań na grypę wśród grupy docelowej, w trakcie 3 letniego okresu realizacji programu”. Jego realizację zaplanowano na okres od 1 czerwca 2020 do końca 2022 r. (z zastrzeżeniem, że planowana jest kontynuacja programu w kolejnych latach). Realizatorem świadczeń będzie wybrany w drodze konkursu ofert podmiot leczniczy, zobowiązany spełnić obowiązujące warunki prawne wykonywania szczepień ochronnych. Jednym z wymogów wzięcia udziału w programie jest posiadanie Suwalskiej Karty Mieszkańca – seniora.

W ramach programu planowane jest przeprowadzenie akcji edukacyjnej w postaci dystrybucji ulotek i otwartych wykładów w klubach seniora, a także przy wykorzystaniu strony internetowej Urzędu Miejskiego i mediów społecznościowych. Edukacja zdrowotna ma być też prowadzona podczas lekarskiego badania kwalifikacyjnego do szczepienia.

Programem szczepień przeciwko wirusowi grypy – szczepionką czterowalentną – ma być objętych rocznie około 2.000 osób spośród 9.135 mieszkańców w wieku 65 lat i więcej, a więc 21,9 % populacji osób starszych. Zgodnie z wytycznymi WHO efekt populacyjny w przypadku szczepień przeciw grypie osiągnięty zostaje przy 75% wyszczepialności. Do takiego poziomu należy dążyć w grupach ryzyka, w tym w populacjach osób starszych. Niski poziom założonej wyszczepialności jest słabą stroną planowanego programu. Obniża to jego skuteczność oraz efektywność kosztową.

Planowane koszty całkowite programu wynoszą 150.000 zł rocznie, z możliwością zwiększenia budżetu w kolejnych latach. Planowany koszt jednostkowy został wskazany na poziomie „ok. 55 zł”, bez wskazania na sposób wyliczenia tej kwoty i jej składowe. Program zostanie sfinansowany z budżetu miasta.

Należy zwrócić uwagę, w ślad za raportem AOTMiT, że cel główny i cele szczegółowe wskazane w projekcie nie zostały ujęte w prawidłowy sposób, w tym nie są zgodne z koncepcją S.M.A.R.T. Dobrze sformułowany cel powinien być: sprecyzowany, mierzalny, osiągalny, istotny i zaplanowany w czasie. Żaden z celów szczegółowych nie odnosi się przy tym do efektu zdrowotnego. Część wskaźników błędnie przedstawionych jako mierniki efektywności odnosi się jedynie do oceny zgłaszalności. Nadto, załączony do projektu wzór ankiety nie zawiera pytań dotyczących spotkań edukacyjnych w klubach seniora. Z kolei w ramach oceny efektywności programu zaplanowano jedynie analizę zachorowalności. Prawidłowo zaplanowana ewaluacja programu powinna

*opierać się na porównaniu stanu sprzed wprowadzenia działań w ramach programu, a stanem po jego zakończeniu.*

*Wadliwie został także opracowany budżet programu. Jeśli roczny koszt realizacji programu ma wynieść 150.000 zł, to przy założeniu, iż obejmie on grupę 2.000 osób, jednostkowy koszt wyniesie 75 zł, a nie 55 zł. Rada Przejrzystości zwraca uwagę, że w programie należy określić szacowane koszty jednostkowe w przeliczeniu na pojedynczego uczestnika, z uwzględnieniem wszystkich kosztów poszczególnych składowych (m.in. interwencji, wynagrodzeń, wynajmu pomieszczeń, działań edukacyjnych, promocji i informacji). Należy przy tym podzielić koszty na poszczególne usługi i świadczenia zdrowotne oferowane w ramach programu. Z kolei całkowite koszty programu należy przedstawić w układzie tabelarycznym.*

#### **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 2019 r., poz. 1373), z uwzględnieniem raportu nr: OT.441.82.2019 „ZDROWA JESIEŃ - profilaktyczne szczepienia przeciwko grypie mieszkańców Suwałk powyżej 65 roku życia” realizowany przez: Miasto Suwałki, Warszawa, lipiec 2019 oraz Aneksu „Programy profilaktycznych szczepień ochronnych przeciwko grypie w wybranych grupach ryzyka – wspólne podstawy oceny”, z lipca 2018 r.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezisie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 243/2019 z dnia 5 sierpnia 2019 roku

o projekcie programu „Program szczepień profilaktycznych przeciwko grypie dla mieszkańców Gminy Dobiegniew w wieku 65 lat i więcej na lata 2020-2024”

*Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program szczepień profilaktycznych przeciwko grypie dla mieszkańców Gminy Dobiegniew w wieku 65 lat i więcej na lata 2020-2024”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady oraz zawartych w raporcie AOTMiT.*

#### Uzasadnienie

*Oceniany projekt programu wpisuje się w priorytet zdrowotny „zwiększenie skuteczności zapobiegania chorobom zakaźnym i zakażeniom, w tym przeciwdziałanie skutkom nieprawidłowej antybiotykoterapii”, wymienionych w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 27 lutego 2018 r. (Dz.U. 2018, poz. 469).*

*Wnioskodawca w prawidłowy sposób opisał wybrany problem zdrowotny, jakim jest grypa, będąca ostrą chorobą zakaźną wywołaną przez zakażenie układu oddechowego wirusem grypy. Grypę sezonową najczęściej wywołują wirusy typu A (podtypy H1N1 i H3N2, a w niektórych sezonach H2N2), w mniejszym stopniu wirusy grypy B. W świetle danych NIZP-PZH za 2017 r. w Polsce odnotowano około 5 mln przypadków zachorowań i podejrzeń zachorowań na grypę. Do czynników ryzyka ciężkiego przebiegu i powikłań grypy (w tym hospitalizacji i zgonu) należy m.in. wiek  $\geq 65$  czy niektóre choroby przewlekłe. We wniosku przywołano krajowe i regionalne dane epidemiologiczne.*

*Szczepienia ochronne stanowią podstawową metodę profilaktyki przeciw grypie. Znajdują się one w grupie szczepień zalecanych, ale niefinansowanych ze środków znajdujących się w budżecie Ministra Zdrowia. Na liście leków refundowanych znajduje się natomiast szczepionka czterowalentna, z odpłatnością dla pacjenta w wieku 65 lub więcej na poziomie 50% (wysokość dopłaty świadczeniobiorcy wynosi 22,88 zł). Wirusy grypy A charakteryzuje duża zmienność antygenowa, która powoduje ryzyko zachorowania każdego roku i konieczność corocznej aktualizacji składu szczepionek. Najlepiej przeprowadzać szczepienie na początku sezonu epidemicznego, tj. w okresie od września*





do połowy listopada. Wskazane jest ponadto prowadzenie kampanii informacyjno-edukacyjnej, której celem powinno być przede wszystkim uzyskanie założonego odetka osób, które w danym sezonie epidemicznym zaszczepiły się przeciwko grypie.

Głównym założeniem opiniowanego programu jest „zmniejszenie ryzyka zakażenia wirusami grypy wśród mieszkańców Gminy Dobiegniew w wieku 65 lat i więcej”. Jest to pierwszy taki program w tej gminie, a jego realizację zaplanowano na lata 2020-2024. Realizatorem świadczeń będzie wybrany w drodze konkursu ofert podmiot leczniczy, zobowiązany spełnić obowiązujące warunki prawne wykonywania szczepień ochronnych.

W ramach programu planowane jest przeprowadzenie akcji edukacyjnej za pomocą plakatów informacyjnych oraz przeprowadzenie jednego w każdym sezonie 60-minutowego wykładu dla grupy chętnych mieszkańców. Edukacja zdrowotna ma być też prowadzona podczas lekarskiego badania kwalifikacyjnego do szczepienia.

Programem szczepień przeciwko wirusowi grypy ma być objętych rocznie 100 osób spośród około 1 200 mieszkańców Gminy Dobiegniew w wieku 65 lat i więcej, a więc jedynie ok. 8,3% populacji osób starszych. Zgodnie z wytycznymi WHO efekt populacyjny w przypadku szczepień przeciw grypie osiągnięty zostaje przy 75% wyszczepialności. Do takiego poziomu należy dążyć w grupach ryzyka, w tym w populacjach osób starszych. Bardzo niski poziom założonej wyszczepialności jest słabą stroną planowanego programu. Obniża to jego skuteczność oraz efektywność kosztową.

Planowane koszty całkowite programu wynoszą 10 000 zł rocznie (koszt jednostkowy 100 zł, w tym 85 zł to koszt badania kwalifikacyjnego i szczepienia). Program ma być sfinansowany z budżetu gminy.

Należy zwrócić uwagę, w ślad za raportem AOTMiT, że cel główny i cele szczegółowe wskazane w projekcie nie zostały ujęte w prawidłowy sposób, w tym nie są zgodne z koncepcją S.M.A.R.T. Dobrze sformułowany cel powinien być: sprecyzowany, mierzalny, osiągalny, istotny i zaplanowany w czasie. Część wskaźników, błędnie przedstawionych jako mierniki efektywności, odnosi się jedynie do oceny zgłaszalności. Ewaluacja programu została zaplanowana w większości nieprawidłowo. Prawidłowo zaplanowana ewaluacja programu powinna opierać się na porównaniu stanu sprzed wprowadzenia działań w ramach programu, a stanem po jego zakończeniu. Dopiero uzyskana zmiana w zakresie tych wartości i jej wielkość, stanowi o wadze uzyskanego efektu programu.

Rada Przejrzystości zaznacza, że projekt określa jedynie ogólne kryteria włączenia do programu. Brak jednak wskazania jasnego i przejrzystego kryterium kwalifikacji do udziału w programie, gwarantującego równy dostęp do szczepień

*(np. kolejność zgłoszeń). W związku z tym, że grupa osób objętych programem jest niewielka, wszyscy powinni zostać zaszczepieni na początku sezonu epidemiologicznego (tj. w okresie od września do połowy listopada). Program powinien także określać, kto i według jakich kryteriów wybierze spośród produktów dostępnych na rynku szczepionkę, która zostanie zakupiona. Przywołane wytyczne Kolegium Lekarzy Rodzinnych w Polsce, nie zawierają rekomendacji odnośnie do wyboru konkretnego rodzaju szczepionki, a jedynie przedstawiają wykaz dostępnych szczepionek według danych z 2016 r., co jest już nieaktualne. W pkt VI.1 w wadliwy sposób przedstawiono wysokość kosztu jednostkowego.*

#### **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 2019 r., poz. 1373), z uwzględnieniem raportu nr: OT.441.87.2019 „Program szczepień profilaktycznych przeciwko grypie dla mieszkańców Gminy Dobiegniew w wieku 65 lat i więcej na lata 2020-2024” realizowany przez: Gminę Dobiegniew, Warszawa, lipiec 2019 oraz Aneksu „Programy profilaktycznych szczepień ochronnych przeciwko grypie w wybranych grupach ryzyka – wspólne podstawy oceny”, z lipca 2018 r.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

### Opinia Rady Przejrzystości nr 244/2019 z dnia 5 sierpnia 2019 roku o projekcie programu „Gminny program profilaktyki grypy dla mieszkańców Gminy Kołobrzeg w wieku 65+”

*Rada Przejrzystości opiniuje negatywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Gminny program profilaktyki grypy dla mieszkańców Gminy Kołobrzeg w wieku 65+”.*

#### Uzasadnienie

*Oceniany projekt programu wpisuje się w priorytet zdrowotny „zwiększenie skuteczności zapobiegania chorobom zakaźnym i zakażeniom, w tym przeciwdziałanie skutkom nieprawidłowej antybiotykoterapii”, wymienionych w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 27 lutego 2018 r. (Dz.U. 2018, poz. 469).*

*Grypa jest ostrą chorobą zakaźną wywołaną przez zakażenie układu oddechowego wirusem grypy. Grypę sezonową najczęściej wywołują wirusy typu A (podtypy H1N1 i H3N2, a w niektórych sezonach H2N2), w mniejszym stopniu wirusy grypy B. W świetle danych NIZP-PZH za 2017 r. w Polsce odnotowano około 5 mln przypadków zachorowań i podejrzeń zachorowań na grypę. Do czynników ryzyka ciężkiego przebiegu i powikłań grypy (w tym hospitalizacji i zgonu) należy m.in. wiek  $\geq 65$  czy niektóre choroby przewlekłe. We wniosku przywołano krajowe, regionalne i lokalne dane epidemiologiczne.*

*Szczepienia ochronne stanowią podstawową metodę profilaktyki przeciw grypie. Znajdują się one w grupie szczepień zalecanych, ale niefinansowanych ze środków znajdujących się w budżecie Ministra Zdrowia. Na liście leków refundowanych znajduje się natomiast szczepionka czterowalentna, z odpłatnością dla pacjenta w wieku 65 lub więcej na poziomie 50% (wysokość dopłaty świadczeniobiorcy wynosi 22,88 zł). Wirusy grypy A charakteryzuje duża zmienność antygenowa, która powoduje ryzyko zachorowania każdego roku i konieczność corocznej aktualizacji składu szczepionek. Najlepiej przeprowadzać szczepienie na początku sezonu epidemicznego, tj. w okresie od września do połowy listopada. Wskazane jest ponadto prowadzenie kampanii informacyjno-edukacyjnej, której celem powinno być przede wszystkim uzyskanie*



założonego odetka osób, które w danym sezonie epidemicznym zaszczepiły się przeciwko grypie.

Głównym założeniem opiniowanego programu jest „zmniejszenie liczby infekcji (zapadalności na grypę i infekcje grypopodobne) oraz powikłań po zakażeniu wirusem grypy”. Jego realizację zaplanowano na okres od 1 września do 31 grudnia 2019 r. Realizatorem świadczeń będzie wybrany w drodze konkursu ofert podmiot leczniczy, zobowiązany spełnić obowiązujące warunki prawne wykonywania szczepień ochronnych.

W ramach programu planowane jest przeprowadzenie „bezpośredniej i pośredniej edukacji pacjenta”, co ma opierać się na rozmowie z lekarzem i pielęgniarką oraz odpowiednio przeszkolonym pozostałym personelem, a także na przekazywaniu informacji przy pomocy ulotek, filmów edukacyjnych i innych zaplanowanych do wykorzystania materiałów.

Programem szczepień przeciwko wirusowi grypy mają zostać objęte 1.172 osoby spośród 2.344 mieszkańców w wieku 65 lat i więcej, a więc 50 % populacji osób starszych. W świetle jednak danych Głównego Urzędu Statystycznego gminę Kołobrzeg zamieszkują 1.523 osoby w tym wieku, zatem faktyczny odsetek ma sięgnąć 77 %.

Planowane koszty całkowite programu wynoszą 40.000 zł, zaś koszt jednostkowy został określony na poziomie 34 zł, jednak bez wskazania na sposób wyliczenia tej kwoty i jej składowe. Program zostanie sfinansowany z budżetu gminy (środki zostały już zabezpieczone).

Należy zwrócić uwagę, w ślad za raportem AOTMiT, że cel główny i cele szczegółowe wskazane w projekcie nie zostały ujęte w prawidłowy sposób, w tym nie są w pełni zgodne z koncepcją S.M.A.R.T. Dobrze sformułowany cel powinien być: sprecyzowany, mierzalny, osiągalny, istotny i zaplanowany w czasie. Część wskaźników, błędnie przedstawionych jako mierniki efektywności, odnosi się jedynie do oceny zgłaszalności. Projekt zawiera chaotyczny opis etapów i działań podejmowanych w ramach programu. Nie zawiera także opisu oceny jakości świadczeń w programie. Również opis ewaluacji został przygotowany wadliwie i nie przedstawia jasnego sposobu oceny efektywności programu. Prawidłowo zaplanowana ewaluacja programu powinna opierać się na porównaniu stanu sprzed wprowadzenia działań w ramach programu, a stanem po jego zakończeniu. Dopiero uzyskana zmiana w zakresie tych wartości i jej wielkość, stanowi o wadze uzyskanego efektu programu.

Wadliwie został także opracowany budżet programu. Rada Przejrzystości zwraca uwagę, że w programie należy określić szacowane koszty jednostkowe w przeliczeniu na pojedynczego uczestnika, z uwzględnieniem wszystkich kosztów poszczególnych składowych (m.in. interwencji, wynagrodzeń, wynajmu

*pomieszczeń, działań edukacyjnych, promocji i informacji). Należy przy tym podzielić koszty na poszczególne usługi i świadczenia zdrowotne oferowane w ramach programu. Z kolei całkowite koszty programu należy przedstawić w układzie tabelarycznym. Warunków tych przedłożony projekt nie spełnia. Nadto, jeśli całkowity koszt realizacji programu ma wynieść 40.000 zł, to przy założeniu, iż obejmie on grupę 1.172 osób, jednostkowy koszt wyniesie 34,13 zł. Jest to poziom nierealny, biorąc pod uwagę już choćby koszt zakupu samej szczepionki i jej podania, nie mówiąc o działaniach edukacyjnych.*

*Rada Przejrzystości zaznacza, że projekt nie wskazuje jasnego i przejrzystego kryterium kwalifikacji do udziału w programie, gwarantującego równy dostęp do szczepień w sytuacji, gdy środki finansowe nie pozwolą na objęcie nim całej docelowej populacji (np. kolejność zgłoszeń). Program powinien także określać, kto wybierze spośród produktów dostępnych na rynku szczepionkę, która zostanie zakupiona dla uczestników. Wnioskodawca przedstawił nieaktualny wykaz dopuszczonych do obrotu w Polsce szczepionek przeciw grypie.*

*Dla osiągnięcia trwałości efektów zdrowotnych w programach polityki zdrowotnej należy rozpatrywać przede wszystkim działania długofalowe. Zgodnie z opiniami ekspertów programy szczepionkowe dotyczące grypy sezonowej powinny być cykliczne, aby uzyskać odporność populacyjną. Niniejszy program odnosi się tylko do początkowej części jednego sezonu epidemicznego (cztery ostatnie miesiące 2019 r.), co nie daje szansy na jego prawidłowe przeprowadzenie. Modelowo akcja szczepień powinna ruszyć we wrześniu, tymczasem najpierw trzeba będzie przeprowadzić procedurę konkursową wyboru realizatora, przygotować materiały edukacyjne, przeprowadzić działania informacyjno-edukacyjne i zakupić szczepionki. Przy wadliwie zaprojektowanym programie nie byłoby zresztą realne osiągnięcie założonej wysokiej wyszczepialności.*

#### **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 2019 r., poz. 1373), z uwzględnieniem raportu nr: OT.441.100.2019 „Gminny program profilaktyki grypy dla mieszkańców Gminy Kołobrzeg w wieku 65 +” realizowany przez: Gminę Kołobrzeg, Warszawa, lipiec 2019 oraz Aneksu „Programy profilaktycznych szczepień ochronnych przeciwko grypie w wybranych grupach ryzyka – wspólne podstawy oceny”, z lipca 2018 r.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 245/2019 z dnia 5 sierpnia 2019 roku

o projekcie programu „Program profilaktyki szczepień przeciwko wirusowi HPV stanowiącego przyczynę raka szyjki macicy w gminie Nakło nad Notecią”

*Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki szczepień przeciwko wirusowi HPV stanowiącego przyczynę raka szyjki macicy w gminie Nakło nad Notecią”, pod warunkiem zmiany tytułu na „Program szczepień przeciwko wirusowi HPV w gminie Nakło nad Notecią” oraz uwzględnienia uwag Rady oraz zawartych w raporcie AOTMiT.*

#### Uzasadnienie

*Oceniany projekt programu wpisuje się w priorytety zdrowotne „zmniejszenie zapadalności i przedwczesnej umieralności z powodu nowotworów złośliwych” oraz „zwiększenie skuteczności zapobiegania chorobom zakaźnym i zakażeniom, w tym przeciwdziałanie skutkom nieprawidłowej antybiotykoterapii”, wymienionych w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 27 lutego 2018 r. (Dz.U. 2018 poz. 469).*

*Wnioskodawca w prawidłowy sposób opisał wybrany problem zdrowotny, jakim jest rak szyjki macicy, który w latach 2005-2015 odpowiadał w Polsce za 4,3% zachorowań na nowotwory złośliwe u kobiet oraz za 4,2% zgonów z tego powodu. Głównym czynnikiem ryzyka wystąpienia raka szyjki macicy jest zaś zakażenie wirusem brodawczaka ludzkiego (HPV). Zakażenia HPV typ 16 i 18 są odpowiedzialne za występowanie około 70% wszystkich przypadków raka szyjki macicy. HPV może też prowadzić do innych nowotworów (w tym sromu, pochwy, odbytu, prącia, jamy ustnej i krtani). We wniosku przywołano krajowe, regionalne i lokalne dane epidemiologiczne.*

*Szczepienia ochronne stanowią najskuteczniejszą formę profilaktyki pierwotnej zakażenia HPV. Szczepienia przeciw wirusowi brodawczaka ludzkiego znajdują się w grupie szczepień zalecanych przez Program Szczepień Ochronnych, niefinansowanych ze środków znajdujących się w budżecie Ministra Zdrowia. Pozostałymi elementami profilaktyki pierwotnej HPV powinny być edukacja i kształtowanie zachowań prozdrowotnych.*



Celem głównym opiniowanego 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”. Jego realizację zaplanowano na lata 2019-2023. Realizatorem świadczeń będzie podmiot leczniczy wybrany w drodze konkursu ofert, zobowiązany spełnić obowiązujące warunki prawne wykonywania szczepień ochronnych.

W ramach programu planowane jest przeprowadzenie akcji promocyjnej oraz edukacji zdrowotnej (w tym spotkań edukacyjnych). Programem szczepień ma zostać objęte 70 % populacji dziewcząt i chłopców w wieku 13 lat (średnio 385 osób rocznie), zameldowanych na stałe na terenie gminy. Pełne uczestnictwo będzie polegać na przyjęciu dwóch dawek szczepionki, zgodnie ze schematem – po uprzedniej kwalifikacji lekarskiej.

Planowany koszt jednostkowy został określony na poziomie 800 zł, jednak bez wskazania na sposób wyliczenia tej kwoty. Planowane koszty całkowite programu wynoszą 1.076.000 zł (rocznie od 199.000 zł do 232.000 zł). Program zostanie sfinansowany z budżetu miasta.

Należy zwrócić uwagę, w ślad za raportem AOTMiT, że cel główny i cele szczegółowe wskazane w projekcie nie zostały ujęte w prawidłowy sposób, w tym nie są zgodne z koncepcją SMART. Dobrze sformułowany cel powinien być: sprecyzowany, mierzalny, osiągalny, istotny i zaplanowany w czasie. Żaden z celów szczegółowych nie odnosi się przy tym do efektu zdrowotnego. Część wskaźników błędnie przedstawionych jako mierniki efektywności odnosi się jedynie do oceny zgłaszalności. Zaplanowana ewaluacja została sformułowana w większości w sposób niepoprawny. Prawidłowa ewaluacja powinna opierać się na porównaniu stanu sprzed wprowadzenia działań w ramach programu, a stanem po jego zakończeniu.

Rada Przejrzystości zaznacza, że projekt nie wskazuje jasnego i przejrzystego kryterium kwalifikacji do udziału w programie, gwarantującego równy dostęp do szczepień w sytuacji, gdy środki finansowe nie pozwolą na objęcie nim całej docelowej populacji (np. kolejność zgłoszeń). Program powinien także określać, kto i według jakich kryteriów wybierze spośród produktów dostępnych na rynku szczepionkę, która zostanie zakupiona dla uczestników. Na stronie tytułowej wskazano przy tym, że program profilaktyki odnosi się do dziewięciu typów wirusa HPV. W treści projektu podano natomiast, że „program zakłada zastosowanie 4-walentnej i 9-walentnej szczepionki przeciwko wirusowi brodawczaka ludzkiego, w schemacie 2-dawkowym”. Program nie zawiera jednak jasnej informacji co do tego, w jaki sposób w programie używane mają być jednocześnie szczepionki 4 i 9-walentne. Kwestię tę należy doprecyzować – podobnie, jak i opis działań edukacyjnych skierowanych do dzieci i ich rodziców/opiekunów prawnych.

*Rada Przejrzystości zwraca też uwagę, że w programie należy określić szacowane koszty jednostkowe, w przeliczeniu na pojedynczego uczestnika, z uwzględnieniem wszystkich kosztów poszczególnych składowych (m.in. interwencji, wynagrodzeń, wynajmu pomieszczeń, działań edukacyjnych, promocji i informacji). Należy przy tym podzielić koszty na poszczególne usługi i świadczenia zdrowotne oferowane w ramach programu. Ten element projektu wymaga zatem dopracowania.*

#### **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 2019 r., poz. 1373), z uwzględnieniem raportu nr: OT.441.95.2019 „Program profilaktyki szczepień przeciwko wirusowi HPV stanowiącego przyczynę raka szyjki macicy w gminie Nakło nad Notecią” realizowany przez: Gminę Nakło nad Notecią, Warszawa, lipiec 2019 r. oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Szczepienia przeciwko wirusowi brodawczaka ludzkiego (HPV) – wspólne podstawy oceny” z grudnia 2018 r.





## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

Opinia Rady Przejrzystości  
nr 246/2019 z dnia 5 sierpnia 2019 roku  
o projekcie programu „Program profilaktyki zakażeń wirusem  
brodawczaka ludzkiego (HPV) w Gminie Miejskiej Legionowo  
na lata 2020-2022”

*Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki zakażeń wirusem brodawczaka ludzkiego (HPV) w Gminie Miejskiej Legionowo na lata 2020-2022”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady oraz zawartych w raporcie AOTMiT.*

### Uzasadnienie

*Oceniany projekt programu wpisuje się w priorytety zdrowotne „zmniejszenie zapadalności i przedwczesnej umieralności z powodu nowotworów złośliwych” oraz „zwiększenie skuteczności zapobiegania chorobom zakaźnym i zakażeniom, w tym przeciwdziałanie skutkom nieprawidłowej antybiotykoterapii”, wymienionych w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 27 lutego 2018 r. (Dz.U. 2018 poz. 469).*

*Wnioskodawca w prawidłowy sposób opisał wybrany problem zdrowotny, jakim jest rak szyjki macicy, który w latach 2005-2015 odpowiadał w Polsce za 4,3% zachorowań na nowotwory złośliwe u kobiet oraz za 4,2% zgonów z tego powodu. Głównym czynnikiem ryzyka wystąpienia raka szyjki macicy jest zaś zakażenie wirusem brodawczaka ludzkiego (HPV). Zakażenia HPV typ 16 i 18 są odpowiedzialne za występowanie około 70% wszystkich przypadków raka szyjki macicy. HPV może też prowadzić do innych nowotworów (w tym sromu, pochwy, odbytu, prącia, jamy ustnej i krtani). We wniosku przywołano krajowe i regionalne dane epidemiologiczne.*

*Szczepienia ochronne stanowią najskuteczniejszą formę profilaktyki pierwotnej zakażenia HPV. Szczepienia przeciw wirusowi brodawczaka ludzkiego znajdują się w grupie szczepień zalecanych przez Program Szczepień Ochronnych, niefinansowanych ze środków znajdujących się w budżecie Ministra Zdrowia. Pozostałymi elementami profilaktyki pierwotnej HPV powinny być edukacja i kształtowanie zachowań prozdrowotnych.*

*Celem głównym opiniowanego programu jest „zwiększenie odporności osobniczej na zakażenia wirusem HPV w populacji docelowej nastoletnich*



mieszkańców Gminy Miejskiej Legionowo”. Jego realizację zaplanowano na lata 2020-2022. Realizatorem świadczeń będzie wybrany w drodze konkursu ofert podmiot leczniczy, zobowiązany spełnić obowiązujące warunki prawne wykonywania szczepień ochronnych.

W ramach programu planowane jest przeprowadzenie edukacji zdrowotnej w postaci godzinnych wykładów dla rodziców oraz 45-minutowych zajęć w klasach szkolnych, a także podczas wizyty kwalifikacyjnej u lekarza i przy wykorzystaniu plakatów informacyjnych.

Populację docelową akcji szczepień stanowią zamieszkujący gminę dziewczynki i chłopcy z dwóch roczników (2007 i 2008). W momencie szczepień będą oni w wieku 12-14. Spośród około 1.300 dzieci spełniających zakładane kryteria szczepieniem ma zostać objętych około 900 dzieci (300 rocznie), tj. 70 % spośród ogółu. Wnioskodawca podaje w treści projektu, że w ramach programu zostanie sfinansowana druga dawka szczepionki Gardasil 9, natomiast „pierwszą dawkę sfinansują rodzice nastoletnich beneficjentów programu”.

Planowany koszt jednostkowy szczepienia został określony na poziomie 438 zł (w tym kwalifikacyjne badanie lekarskie 2 x 40 zł, zakup drugiej dawki szczepionki 338 zł i wykonanie szczepienia 2 x 10 zł). Łączny koszt działań edukacyjnych to 2.500 zł, a monitoringu i ewaluacji – 500 zł. Całkowity koszt realizacji programu oszacowano na 416.400 zł (138.800 zł rocznie).

Należy zwrócić uwagę, w ślad za raportem AOTMiT, że cel główny i cele szczegółowe wskazane w projekcie nie zostały ujęte w prawidłowy sposób, w tym nie są zgodne z koncepcją S.M.A.R.T. Dobrze sformułowany cel powinien być: sprecyzowany, mierzalny, osiągalny, istotny i zaplanowany w czasie. Cel główny jest w okresie realizacji programu niemierzalny, a większość celów szczegółowych nie odnosi się do efektu zdrowotnego. Treść wzoru ankiety nie zawiera pytań dotyczących akcji edukacyjnej. Zaplanowana ewaluacja została sformułowana nieprawidłowo. Większość zakładanych mierników nie umożliwi oceny efektywności programu. Prawidłowa ewaluacja powinna opierać się na porównaniu stanu sprzed wprowadzenia działań w ramach programu, a stanem po jego zakończeniu.

Wątpliwości budzi przyjęty w programie model interwencji, który zakłada, że rodzice samodzielnie sfinansują zakup pierwszej dawki szczepionki, a jedynie druga dawka zostanie sfinansowana ze środków przewidzianych na realizację programu. Uwzględniając znaczącą, z punktu widzenia przeciętnej rodziny, cenę szczepionki Gardasil 9, w ocenie Rady wątpliwe jest osiągnięcie zakładanej wyszczepialności na poziomie 70 %. Jeśli zaś miałyby być odmiennie, i program cieszyłby się większym zainteresowaniem niż zakładane, to projekt nie wskazuje jasnego i przejrzystego kryterium kwalifikacji, gwarantującego równy dostęp

*do szczepień (np. kolejność zgłoszeń). Powinno się uwzględnić bezpłatne szczepienie dla osób, których nie stać na zakup pierwszej dawki szczepionki.*

**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 2019 r., poz. 1373), z uwzględnieniem raportu nr: OT.441.96.2019 „Program profilaktyki zakażeń wirusem brodawczaka ludzkiego (HPV) w Gminie Miejskiej Legionowo na lata 2020-2022” realizowany przez: Miasto Legionowo, Warszawa, lipiec 2019 r. oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Szczepienia przeciwko wirusowi brodawczaka ludzkiego (HPV) – wspólne podstawy oceny” z grudnia 2018 r.