



**Rada Przejrzystości**  
działająca przy  
**Prezisie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji**

BP.401.38.2019.MKZ

**Protokół nr 36/2019**  
**z posiedzenia Rady Przejrzystości**  
**w dniu 9 września 2019 roku**  
**w siedzibie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (Agencji)**

Rafał Niżankowski otworzył posiedzenie pełnego składu Rady o godzinie 10:14.

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

1. Anna Cieślik
2. Anna Gręziak
3. Barbara Jaworska-Łuczak
4. Dorota Kilańska
5. Adam Maciejczyk
6. Tomasz Młynarski
7. Michał Myśliwiec
8. Rafał Niżankowski – prowadził posiedzenie
9. Tomasz Pasierski
10. Dariusz Struski
11. Rafał Suwiński
12. Piotr Szymański
13. Janusz Szyndler
14. Artur Zaczyński

Członkowie Rady nieobecni na posiedzeniu:

1. Tomasz Romańczyk
2. Andrzej Śliwczyński
3. Anetta Undas

Proponowany porządek obrad:

1. Ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady.
2. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Xeomin (toxinum botulinicum typum A ad iniectabile) w ramach programu lekowego B.57. „Leczenie spastyczności kończyny górnej po udarze mózgu z użyciem toksyny botulinowej typu A (ICD-10, I61, I63, I69)”.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację sprowadzanej z zagranicy w ramach importu docelowego żywności specjalnego przeznaczenia medycznego Kindergen Proszek we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek.



5. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Nucala (mepolizumab) we wskazaniu: eozynofilowe zapalenie tkanki podskórnej, choroba Wellsa (ICD-10: L98.3).
6. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Opdivo (nivolumab) we wskazaniu: rak krtani – rozsiew do płuc (ICD-10: C32.9).
7. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Nexavar (sorafenib) we wskazaniu: niskozróżnicowany rak tarczycy (ICD-10: C73).
8. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Sandostatin Lar (oktreotyd) we wskazaniu: makrogruczolak przysadki (ICD-10: D43.0).
9. Analiza ekonomiczna: wprowadzenie do modelowania farmaekonomicznego (ćwiczenia).
10. Przygotowanie opinii o projektach programów polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego:
  - 1) „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania nadwagi i otyłości dla dzieci klas III szkół podstawowych z terenu miasta Żory”,
  - 2) „Program profilaktycznych szczepień przeciwko pneumokokom dla osób 55+ mieszkańców Częstochowy na lata 2019-2023”,
  - 3) „Program profilaktyki zdrowotnej w zakresie szczepień ochronnych przeciwko grypie dla mieszkańców gminy Suwałki po 65 roku życia”,
  - 4) „Program Polityki Zdrowotnej Gminy Rychliki. Szczepienia profilaktyczne przeciwko grypie osób od 65 roku życia X 2019 – XII 2019”,
  - 5) „Program rehabilitacji mieszkańców Gminy Kamieniec Żąbkowicki na lata 2019-2023”,
  - 6) „Rehabilitacja mieszkańców gminy Barwice na lata 2019-2023”.
11. Przygotowanie opinii w sprawie zalecanych technologii medycznych, działań przeprowadzanych w ramach programów polityki zdrowotnej oraz warunków ich realizacji: „Profilaktyka i wczesne wykrywanie osteoporozy pierwotnej”, wraz z odniesieniem się do modelowego rozwiązania.
12. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności zmiany technologii medycznej w zakresie rehabilitacji pediatrycznej.
13. Losowanie składu Zespołu na kolejne posiedzenia Rady.
14. Zakończenie posiedzenia.

**Ad 1.** Rafał Suwiński zgłosił konflikt interesów w zakresie leku Opdivo, wobec czego Rada jednogłośnie (13 głosów „za”) podjęła decyzję o wyłączeniu go z udziału w pracach Rady w zakresie pkt 6. porządku obrad.

Żaden z pozostałych członków Rady nie zgłosił konfliktu interesów.

**Ad 2.** Rada jednogłośnie (14 głosów „za”) zatwierdziła proponowany porządek obrad.

**Ad 3.** Analityk Agencji zaprezentował informacje o leku Xeomin w ramach programu lekowego dot. spastyczności kończyny górnej po udarze mózgu (wniosek refundacyjny), a propozycję stanowiska przedstawił Janusz Szyndler.

Przewodniczący Rady wniósł uwagę do zaproponowanej treści stanowiska, po czym zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (14 głosów „za”) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 1 do protokołu).

**Ad 4.** Propozycję stanowiska dot. żywności medycznej Kindergen (import docelowy) we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek przedstawił Michał Myśliwiec,

Na posiedzenie przybył Jakub Pawlikowski, który nie zadeklarował konfliktu interesów.

Analitik Agencji dopowiedział istotne informacje z raportu.

Wobec braku głosów odmiennych od zaproponowanego stanowiska, prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (15 głosów „za”) uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 2 do protokołu).

**Ad 5.** Analitik Agencji zaprezentował dane dla leku Nucala (RDTL) we wskazaniu dot. pacjentów przed autotransplantację krwiotwórczych komórek macierzystych, a propozycję opinii przedstawił Dariusz Struski.

W trakcie dyskusji Tomasz Młynarski, Rafał Niżankowski, Dariusz Struski oraz Janusz Szyndler sformułowali końcową wersję opinii, po czym prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 11 głosami „za”, przy 4 głosach „przeciw” (15 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 3 do protokołu).

**Ad 6.** Tomasz Pasierski zabrał głos w sprawie leku Opdivo (RDTL) we wskazaniu: rak krtani – rozszew do płuc, a analitik Agencji dopowiedział niezbędne informacje.

We wstępnej dyskusji głos zabrali: Tomasz Pasierski, Rafał Niżankowski oraz Adam Maciejczyk.

Na posiedzenie przybył Dariusz Tereszowski-Kamiński, który nie zadeklarował konfliktu interesów.

Propozycję opinii przedstawił Tomasz Pasierski.

W dyskusji i formułowaniu końcowej wersji opinii udział brali: Rafał Niżankowski, Tomasz Pasierski i Piotr Szymański, po czym prowadzący zarządził głosowanie. Rada jednogłośnie (15 głosów „za”, Rafał Suwiński nie brał udziału w głosowaniu ze względu na konflikt interesów) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 4 do protokołu).

**Ad 7.** Analitik Agencji przedstawił najważniejsze informacje w sprawie leku Nexavar (RDTL) we wskazaniu: niskozróżnicowany rak tarczycy, a propozycję opinii przedstawił Adam Maciejczyk.

W dyskusji głos zabrali: Piotr Szymański, Rafał Suwiński, Michał Myśliwiec, Janusz Szyndler, Adam Maciejczyk i Rafał Niżankowski, po czym prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 14 głosami „za”, przy 1 głosie „przeciw” (15 osób obecnych, Dorota Kilańska nie brała udziału w głosowaniu ze względu na chwilową nieobecność na sali) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 5 do protokołu).

**Ad 8.** Analitik Agencji streścił najistotniejsze informacje z raportu w sprawie leku Sandostatin Lar (RDTL) we wskazaniu: makrogruczolak przysadki, a propozycję opinii przedstawił Rafał Suwiński.

W ramach dyskusji Rafał Niżankowski, Michał Myśliwiec, Rafał Suwiński, Artur Zaczyński oraz Adam Maciejczyk dokonali zmian w treści zaproponowanej opinii, po czym prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (16 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 6 do protokołu).

**Ad 9.** Decyzją prowadzącego, ćwiczenia z zakresu modelowania farmaeconomicznego zostały przeniesione po omówieniu punktów porządku obrad dotyczących programów polityki zdrowotnej.

**Ad 10. 1)** Analitik Agencji streścił raport dot. programu polityki zdrowotnej miasta Żory z zakresu profilaktyki i wczesnego wykrywania nadwagi i otyłości dla dzieci, a propozycję opinii przedstawił Jakub Pawlikowski.

Wobec braku głosów odmiennych od propozycji opinii, prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (16 głosów „za”) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 7 do protokołu).

**2)** Analitik Agencji streścił raport dot. programu polityki zdrowotnej miasta Częstochowy z zakresu profilaktycznych szczepień przeciwko pneumokokom dla osób 55+, a propozycję opinii przedstawił Dariusz Tereszowski-Kamiński.

Wobec braku głosów odmiennych od propozycji opinii, prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (16 głosów „za”) uchwaliła warunkowo pozytywną opinię (załącznik nr 8 do protokołu).

**3)** Analitik Agencji streścił raport dot. programu polityki zdrowotnej gm. Suwałki dot. szczepień profilaktycznych przeciwko grypie, a propozycję opinii przedstawiła Barbara Jaworska-Łuczak.

Wobec braku głosów odmiennych od propozycji opinii, prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (16 głosów „za”) uchwaliła warunkowo pozytywną opinię (załącznik nr 9 do protokołu).

**4)** Analitik Agencji streścił raport dot. programu polityki zdrowotnej gm. Rychliki z zakresu szczepień profilaktycznych przeciwko grypie osób od 65 roku życia, a propozycję opinii przedstawił Tomasz Młynarski.

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

**5)** Analitik Agencji streścił raport dot. programu polityki zdrowotnej gm. Kamieniec Ząbkowicki z zakresu rehabilitacji, a propozycję opinii przedstawiła Dorota Kilańska.

W dyskusji głos zabrali: Michał Myśliwiec, Dorota Kilańska, Jakub Pawlikowski oraz Rafał Niżankowski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 11 głosami „za”, przy 5 głosach „przeciw” (16 osób obecnych) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 11 do protokołu).

**6)** Analitik Agencji streścił raport dot. programu polityki zdrowotnej gm. Barwice z zakresu rehabilitacji, a propozycję opinii przedstawiła Anna Cieślik.

W trakcie dyskusji Michał Myśliwiec, Rafał Niżankowski, Dorota Kilańska i Janusz Szyndler dokonali modyfikacji treści zaproponowanej opinii, po czym prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego

Rada 11 głosami „za”, przy 5 głosach „przeciw” (16 osób obecnych) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 12 do protokołu).

**c.d. Ad 9.** Odbyły się ćwiczenia dotyczące modelowania farmaekonomicznego.

**Ad 11.** Analityk Agencji przedstawił podsumowanie informacji dot. zalecanych technologii medycznych w zakresie profilaktyki i wczesnego wykrywania osteoporozy pierwotnej.

Propozycję opinii przedstawił Artur Zaczyński, a Rada przeprowadziła dyskusję, w której udział brali: Michał Myśliwiec, Rafał Niżankowski, Artur Zaczyński, Rafał Suwiński, Jakub Pawlikowski, Piotr Szymański, Dariusz Struski, Dorota Kilańska oraz Janusz Szyndler.

W trakcie dyskusji posiedzenie opuścił  
Tomasz Pasierski.

W wyniku dyskusji treść opinii została zmodyfikowana, w czym udział brali: Rafał Niżankowski, Michał Myśliwiec, Artur Zaczyński, Anna Gręziak, Dariusz Struski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (15 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 13 do protokołu).

**Ad 12.** Analityk Agencji podsumował raport dotyczący zasadności zmiany technologii medycznej w zakresie rehabilitacji pediatrycznej.

We wstępnej dyskusji udział brali: Rafał Niżankowski, Michał Myśliwiec i Dorota Kilańska.

Propozycję stanowiska przedstawił Piotr Szymański.

W ramach dalszej części dyskusji, Rafał Niżankowski i Michał Myśliwiec zmodyfikowali treść zaproponowanego stanowiska.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 14 głosami „za”, przy 1 głosie „przeciw” (15 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 14 do protokołu).

**Ad 13.** Nie przeprowadzono losowania składu Zespołu na kolejne posiedzenie.

**Ad 14.** Posiedzenie zakończyło się o godzinie 15:29.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 78/2019 z dnia 9 września 2019 roku  
w sprawie oceny leku Xeomin (toxinum botulinicum typum A  
ad iniectabile) w ramach programu lekowego: B.57. „Leczenie  
spastyczności kończyny górnej po udarze mózgu z użyciem toksyny  
botulinowej typu A (ICD-10 I61, I63, I69)”

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Xeomin (toxinum botulinicum typum A ad iniectabile), proszek do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 100 jedn. LD50, 1 fiol. proszku EAN: 05909990643950, w ramach programu lekowego B.57. „Leczenie spastyczności kończyny górnej po udarze mózgu z użyciem toksyny botulinowej typu A (ICD-10 I61, I63, I69)”, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie, pod warunkiem, że koszt produktu będzie niższy w porównaniu z najtańszym (po uwzględnieniu mechanizmów RSS), refundowanym obecnie w programie lekowym, preparatem toksyny botulinowej typu A.*

Rada Przejrzystości uznaje

Rada nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego.

### Uzasadnienie

#### Problem decyzyjny

*Minister Zdrowia zlecił przygotowanie analizy weryfikacyjnej AOTMiT, stanowiska Rady Przejrzystości oraz rekomendacji Prezesa AOTMiT na zasadzie art. 35 ust. 1 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2016 r. poz. 1536, z późn. zm.) w przedmiocie objęcia refundacją produktu leczniczego: Xeomin, Toxinum botulinicum typum A ad iniectabile, proszek do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 100 jedn. LD50 toksyny botulinowej typu A wolnej od białek kompleksujących, 1 fiol. proszku, kod EAN: 5909990643950 w ramach programu lekowego: „B.57. Leczenie spastyczności kończyny górnej po udarze mózgu z użyciem toksyny botulinowej typu A (ICD-10 I61, I63, I69)”.*



### Dowody naukowe

*Spastyczność jest to stan polegający na patologicznym wzroście napięcia mięśniowego, będącym objawem uszkodzenia górnego neuronu ruchowego, w przebiegu udaru mózgu, stwardnienia rozsianego czy urazów ośrodkowego układu nerwowego. Spastyczność sprzyja powstawaniu trwałych przykurczów, deformacji stawów, odleżyn, jak również zakrzepicy żyłnej oraz infekcjom. W istotny sposób utrudnia odzyskanie sprawności przez pacjenta, a także wpływa negatywnie na jakość życia.*

*Zidentyfikowano dwa randomizowane badania III fazy (Kanovsky, 2009 oraz Elovic, 2016), w których oceniano efektywność kliniczną toksyny botulinowej typu A (produkt leczniczy Xeomin) w leczeniu poudarowej spastyczności kończyny górnej badanie w porównaniu z placebo. Wykazano, że podawanie toksyny botulinowej (Xeomin) wykazuje istotną statystycznie przewagę nad placebo w zakresie odpowiedzi na leczenie w obrębie mięśni kończyny górnej, w tym zginaczy nadgarstka, zginaczy palców, zginaczy łokcia, czy nawracaczy przedramienia.*

*Nie zidentyfikowano badań klinicznych porównujących bezpośrednio skuteczność kliniczną różnych preparatów toksyny botulinowej typu A (produkt leczniczy Xeomin vs Botox lub Dysport).*

*Wyniki przeprowadzonej analizy pośredniej oceniającej skuteczność różnych preparatów toksyny botulinowej typu A (Xeomin vs. Botox i Xeomin vs. Dysport) nie wykazały istotnych różnic w skuteczności Xeominu względem Botoxu, w zakresie redukcji napięcia mięśniowego poudarowej spastyczności kończyny górnej, w tym różnic w skali AS/MAS w grupie mięśni zginaczy nadgarstka, palców i mięśni łokcia oraz w grupie mięśni kciuka (poza istotną przewagą Botoxu nad Xeominem w grupie mięśni kciuka w okresie 8-10 tygodni od iniekcji). Nie wykazano także istotnych różnic w zakresie redukcji niesprawności chorych ocenianej w skali DAS. Podobnie, nie wykazano także różnic w skuteczności Xeominu względem Dysportu w zakresie redukcji napięcia mięśniowego dla większości poszczególnych grup mięśni w poudarowej spastyczności kończyny górnej w skali AS/MAS, jak również w zakresie redukcji niepełnosprawności ocenianej w skali DAS. Analiza wrażliwości nie zmieniała wniosków wynikających z analizy podstawowej.*

*Technologia wnioskowana i komparatory (Xeominu względem Botoxu, jak i Xeominu względem Dysportu) charakteryzowały się także porównywalnym profilem bezpieczeństwa. Nie wykazano istotnych różnic pomiędzy różnymi preparatami toksyny botulinowej w odniesieniu do ryzyka wystąpienia zdarzeń niepożądanych, w tym ciężkich zdarzeń niepożądanych w okresie obserwacji wynoszącym do 24 tygodni.*

Liczne rekomendacje kliniczne (PTN 2018, Royal College of Physicians 2018, AHA/ASA 2016, AAN 2016, ESO 2008) wskazują, że toksyna botulinowa jest standardową opcją terapeutyczną w przypadku objawowego leczenia spastyczności.

Odnaleziono trzy pozytywne (PBAC 2014, HAS, 2011, SMC 2011) oraz jedną negatywną (CADTH 2009) rekomendację refundacyjną.

Eksperti kliniczni popierają finansowanie wnioskowanej technologii.

#### Problem ekonomiczny

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy [redacted] stosowanie leku Xeomin jest [redacted] w porównaniu z lekiem [redacted] i [redacted] w porównaniu z lekiem Dysport.

Należy mieć na uwadze, że oszacowanie przeprowadzono na podstawie cen z obwieszczenia Ministra Zdrowia, tj. cen maksymalnych dla obu komparatorów (Botox i Dysport), których rzeczywiste koszty mogą być niższe.

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy objęcie refundacją leku Xeomin, w wariantach [redacted] będzie wiązało się z [redacted] [redacted] zarówno w pierwszym, jak i drugim roku refundacji.

#### Główne argumenty decyzji

Xeomin jest lekiem, którego substancją czynną stanowi toksyna botulinowa typu A. Skuteczność toksyny botulinowej typu A w leczeniu spastyczności poudarowej została wykazana w kontrolowanych badaniach III fazy. Wytyczne międzynarodowe wskazują, że jest to jedna z podstawowych opcji terapeutycznych w tym wskazaniu. Lek charakteryzuje się zadowalającym profilem bezpieczeństwa, a jego finansowanie będzie wiązało się z [redacted] dla budżetu płatnika publicznego.

#### **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.4331.37.2019 „Wniosek o objęcie refundacją produktu leczniczego Xeomin (toksyna botulinowa typu A) w ramach programu lekowego »Leczenie spastyczności kończyny górnej po udarze mózgu z użyciem toksyny botulinowej typu A (ICD-10: I61; I63; I69)«”. Data ukończenia: 29.08.2019 r.



## KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Merz Pharmaceuticals GmbH).

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem (Merz Pharmaceuticals GmbH)

o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

**Podstawa prawna wyłączenia jawności:** art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 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:** (Merz Pharmaceuticals GmbH).



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 79/2019 z dnia 9 września 2019 roku  
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację żywności  
specjalnego przeznaczenia medycznego Kindergen we wskazaniu:  
przewlekła niewydolność nerek

*Rada Przejrzystości uważa za niezasadne wydawanie zgód na refundację żywności specjalnego przeznaczenia medycznego Kindergen, proszek, puszka a 400 g, we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek.*

### Uzasadnienie

#### Problem decyzyjny

*Kindergen jest produktem przeznaczonym do stosowania jako wyłączone źródło pożywienia lub jako dodatek do diety niemowląt i dzieci z przewlekłą niewydolnością nerek. W celu zminimalizowania ryzyka chorób kości, preparat zawiera obniżone stężenie fosforanów, a stężenie wapnia dostosowano w ten sposób, aby osiągnąć proporcje względem fosforu 1,2:1. Preparat zawiera niewiele podwyższoną zawartość sodu i zwiększoną zawartość kalorii pochodzących z tłuszczów.*

*W latach 2016-2019 złożonych zostało 37 wniosków o refundację przedmiotowego preparatu, z czego 36 zostało rozpatrzonych pozytywnie (1 w toku), a został on sprowadzony dla 28 dzieci.*

*Jednocześnie, zostało rozpatrzonych pozytywnie 55 wniosków dla nowszej technologii alternatywnej (RenaStart), który został sprowadzony dla 33 dzieci z przewlekłą niewydolnością nerek.*

*Według ekspertów, może być w Polsce 10 do kilkudziesięciu dzieci kwalifikujących się do stosowania omawianego preparatu, a jeden z nich wskazuje na możliwość jego nadużywania.*

*W 2018 r. Rada i Prezes Agencji nie uznali za zasadne refundowania podobnego i tańszego oraz nowszego preparatu (RenaStart).*

#### Dowody naukowe

*Nie odnaleziono dowodów naukowych oceniających skuteczność i bezpieczeństwo preparatu Kindergen. Istnieją dwa doniesienia konferencyjne z 1998 r., pochodzące z jednego ośrodka, ale nie udało się odnaleźć ich tekstu.*



Trzy wytyczne brytyjskie zalecają zarówno preparat Kindergen, jak i preparat RenaStart, bez podnoszenia kwestii preferowania któregoś z nich (First Steps Nutrition Trust 2018, NUH-CRU 2018, Clinical Paediatric Dietetics -BDA 2015). W amerykańskich wytycznych KDOQI 2008 i australijskich KHA-CARI 2005 wymieniono tylko preparat Kindergen, zaś w walijskich wytycznych WNN 2014 – tylko preparat RenaStart.

#### Problem ekonomiczny

Koszt terapii produktem Kindergen jest o ok. 1/5 droższy od nowszego preparatu RenaStart.

#### Główne argumenty decyzji

Brak jest dowodów na skuteczność Kindergen. Koszt terapii jest o ok. 1/5 droższy od nowszego preparatu RenaStart, którego refundację Rada zaopiniowała negatywnie w 2018 r., z powodu braku dowodów na poprawę istotnych punktów końcowych, takich jak poprawa stanu odżywienia i wzrostu, wydłużenie czasu do rozpoczęcia dializ itp. W Polsce są dostępne leki stosowane w hiperkaliemii i hiperfosfatemii.

#### **Tryb wydania stanowiska**

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 1373), w związku z art. 39 ust. 3 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 784 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności wydawania zgody na refundację, raport nr: OT.4311.19.2019 „Kindergen we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek”. Data ukończenia: 4 września 2019 r.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 284/2019 z dnia 9 września 2019 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Nucala (mepolizumab) we wskazaniu: eozynofilowe zapalenie tkanki podskórnej (choroba Wellsa) (ICD-10: L98.3)

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Nucala (mepolizumab), proszek do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, fiołka á 100 mg, we wskazaniu: eozynofilowe zapalenie tkanki podskórnej (choroba Wellsa) (ICD-10: L98.3).*

#### Uzasadnienie

*Zgodnie z Obwieszczeniem Ministra Zdrowia z dnia 30 sierpnia 2019 r. mepolizumab w preparacie Nucala jest obecnie refundowany w ramach programu lekowego B.44 „Leczenie ciężkiej astmy alergicznej IgE zależnej (ICD-10 J45.0) oraz ciężkiej astmy eozynofilowej (ICD-10 J45)”. Nucala jest zarejestrowana do stosowania w leczeniu uzupełniającym dorosłych, młodzieży i dzieci w wieku 6 lat i starszych z ciężką, oporną na leczenie astmą eozynofilową.*

#### Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

*Zespół Wellsa jest bardzo rzadką chorobą o nieznanym etiologii. Został on ujęty w jednostkę nozologiczną w roku 1971. Charakteryzuje się zespołem objawów skórnych o różnej morfologii z objawami ogólnymi oraz widoczną komponentą eozynofilową w badaniu hist.-pat. tkanki podskórnej i/lub w rozmazie krwi, występującą u ok. 50% pacjentów. Reakcja chorobowa ma charakter nawrotowy, rokowanie jest dobre, a najcięższym powikłaniem może być wystąpienie zmian twardzinopodobnych. Objawy w zespole Wellsa mają tendencję do spontanicznej remisji po 4-5 tygodniach, w związku z czym rzeczywista efektywność stosowanych terapii może być trudna w ocenie. Po zastosowaniu leczenia miejscowego objawy zwykle ustępują w ciągu kilku tygodni lub miesięcy. Niemniej jednak, w przypadku wystąpienia zmian rozległych, nawracających i opornych na leczenie, może być konieczne zastosowanie długotrwałego leczenia systemowego.*



### Skuteczność kliniczna i praktyczna

Analizę kliniczną przeprowadzono w oparciu o dowody niskiej wiarygodności, tj. opisy przypadków. Odnaleziono badania dotyczą łącznie dwóch osób dorosłych, u których rozpoczęto leczenie mepolizumabem ze względu na współistnienie astmy eozynofilowej. Po podaniu leku obserwowano całkowite ustąpienie zmian skórnych oraz normalizację eozynofilii, co stanowi zachęcającą przesłankę do dalszych badań nad zastosowaniem leku w tym wskazaniu.

### Bezpieczeństwo stosowania

Lek jest względnie dobrze tolerowany i nie daje poważnych lub nieodwracalnych efektów ubocznych. Do najczęstszych objawów niekorzystnych należy ból głowy o różnym nasileniu występujący z częstotliwością ok. 15-20% oraz bóle nadbrzusza, dłużej trwający ból w miejscu wkłucia, czy nasilanie objawów alergicznych (skórnych i śluzówkowych) występujących z częstotliwością między 5 a 10%.

### Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Nie odnaleziono danych pozwalających na określenie parametrów użyteczności związanych z poprawą stanu zdrowia po włączeniu terapii mepolizumabem u pacjentów z zespołem Wellsa. Do dnia zakończenia prac nad niniejszym opracowaniem nie otrzymano odpowiedzi od ankietowanych ekspertów klinicznych.

### Konkurencyjność cenowa

Cena pojedynczej dawki leku waha się między 3 000 - 5 000 zł. Minimalny czas trwania terapii to 3 dawki podawane w odstępach miesięcznych. Koszt miesięczny terapii to ok. 4 000 zł.

Dla alternatywnych technologii, koszty miesięcznej terapii wynoszą orientacyjnie:

Plaquenil - 90 zł, cyklosporyna - 600 zł, dapson - 15 zł, prednisolon - 120 zł, doxycyklina - 60 zł.

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

Koszt leczenia jednego pacjenta najkrótszym cyklem leczenia (3 dawki), obciążą płatnika publicznego kwotą ok. 14,84 tys. zł przy uwzględnieniu kosztu zgodnego z Obwieszczeniem Ministra Zdrowia. Przy przyjęciu średniej ceny na podstawie danych z portalu IKAR pro, koszt ten wynosiłby 8,96 tys. zł.

Wydatki płatnika publicznego przy założeniu, że pacjenci z populacji docelowej (40 osób) będą leczeni przez 12 miesięcy lekiem Nucala wyniosą od ok. 1,44 mln zł do ok. 2,37 mln zł odpowiednio, przy uwzględnieniu średniej ceny na podstawie danych z portalu IKAR pro i przyjęciu ceny z Obwieszczenia

Ministra Zdrowia. Z powodu braku danych epidemiologicznych nie można jednak oszacować wielkości grupy pacjentów potrzebujących wnioskowanego leczenia. Liczebność populacji docelowej jest prawdopodobnie zawyżona.

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

Odnalezione doniesienia literaturowe wskazują, iż podstawę leczenia zespołu Wellsa stanowi terapia immunosupresyjna. Prednizolon, cyklosporyna, dapson, plaqenil, antybiotyki tetracyklinowe są uważane za terapie skuteczne w zespole Wellsa. Problem terapeutyczny dotyczy nieznanego odsetka osób nie reagujących lub reagujących niedostatecznie dobrze na powyższe leki.

Terapię pierwszego rzutu są glikokortykosteroidy stosowane miejscowo lub systemowo. W przypadku niepowodzenia terapii GKS wskazuje się na stosowanie cyklosporyny, dapsonu oraz antybiotyków tetracyklinowych. Leki te, poza cyklosporyną, jak wynika z informacji załączonych do zlecenia Ministra Zdrowia były już stosowane w terapii pacjenta objętego wnioskiem.

Główne argumenty decyzji

Rada rekomenduje pozytywną opinię o podjęciu próby leczenia eksperymentalnego w trybie procedury RDTL oraz pozytywną opinię co do zastosowania procedury poza zarejestrowanymi wskazaniami, ze względu na:

- brak efektów prowadzonego wg wskazań i zaleceń dotychczasowego leczenia,
- korzystne i obiecujące, choć nieliczne, obserwacje kliniczne dotyczące efektu stosowania leku we wnioskowanym wskazaniu,
- względnie niskie koszty jednostkowe procedury,
- względnie dobrą tolerancję leku – brak poważnych czy nieodwracalnych efektów ubocznych,
- oczekiwanie pojawienia się korzystnych efektów leczenia już po pierwszej dawce,
- możliwości wycofania się z nieskutecznej terapii bez szkody dla pacjenta w trakcie jej trwania.

**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.422.68.2019 „Nucala (mepolizumab) we wskazaniu: eozynofilowe zapalenie tkanki podskórnej (choroba Wellsa) (ICD-10: L98.3)”.  
Data ukończenia: 4 września 2019 r.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 285/2019 z dnia 9 września 2019 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Opdivo (niwolumab) we wskazaniu: rak krtani - rozsiew do płuc (ICD-10: C32.9)

*Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Opdivo (niwolumab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, fiolka á 40 mg, we wskazaniu: rak krtani - rozsiew do płuc (ICD-10: C32.9).*

#### Uzasadnienie

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

*Rak krtani z rozsiewem do płuc jest chorobą o wyjątkowo niepomyślnym rokowaniu.*

##### Skuteczność kliniczna i praktyczna

*Wykazana w badaniu Checkmate 141, w którym wykazano skuteczność niwolumabu w porównaniu ze standardową chemioterapią: metotreksatem, cetuksymabem lub docetakselem u chorych z rakiem nosogardła po niepowodzeniu terapii opartej na cisplatinie.*

##### Bezpieczeństwo stosowania

*Akceptowalne w oparciu o badanie Checkmate 141.*

##### Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

*Trudna do oszacowania.*

##### Konkurencyjność cenowa

*Tańszy od komparatora, jakim jest pembrolizumab.*

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

*Jednostkowe koszty leczenia są wysokie.*



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

*Pembrolizumab lub standardowa chemioterapia: metotreksatem, cetuksymabem lub docetakselem, która jest mniej skuteczna i gorzej tolerowana.*

Główne argumenty decyzji

*Od 01.09.2019 r. lek Opdivo jest refundowany w ramach programu lekowego B.52 „Leczenie płaskonabłonkowego raka narządów głowy i szyi”. Należy rozważyć udział chorego w tym programie.*

**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.422.71.2019 „Opdivo (niwolumab) we wskazaniu: rak krtani - rozsiew do płuc (ICD-10: C32.9)”. Data ukończenia: 4 września 2019 r.





## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 286/2019 z dnia 9 września 2019 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych,  
w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku  
Nexavar (sorafenib) we wskazaniu: niskozróżnicowany rak tarczycy  
(ICD10: C73)

*Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Nexavar (sorafenib), tabletki á 200 mg, we wskazaniu: niskozróżnicowany rak tarczycy (ICD-10: C73).*

#### Uzasadnienie

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

*W 2004 roku WHO zaproponowało wyodrębnienie z grupy zróżnicowanych raków tarczycy (DTC) postaci niskozróżnicowanej tego nowotworu (PDTC, poorly differentiated thyroid cancer), która ma bardziej agresywny przebieg i gorsze rokowanie niż DTC.*

*Liczba zachorowań na nowotwory tarczycy według danych KRN za 2015 r. wynosiła 3529 osób, z czego około 605 u mężczyzn i 2924 u kobiet. Niskozróżnicowany rak tarczycy (PDTC) stanowi od 2% do 15% wszystkich raków tarczycy. Wg odnalezionych wytycznych (ATA 2015) rokowanie w niskozróżnicowanych rakach tarczycy jest gorsze niż u chorych ze zróżnicowanymi rakami tarczycy. Czas bez nawrotu choroby jest krótszy niż 12 mies., 5-letnie przeżycie całkowite wynosi ok. 72%, a ok. 54% pacjentów umiera w ciągu 10 lat.*

##### Skuteczność kliniczna i praktyczna

*Skuteczność kliniczną oceniono na podstawie badania randomizowanego DECISION, porównującego skuteczność kliniczną i bezpieczeństwo sorafenibu z placebo w leczeniu pacjentów z progresywnym zróżnicowanym rakiem tarczycy (a więc w populacji szerszej niż wnioskowana) oraz przeglądu systematycznego (Kawalec 2016), w którym przeprowadzono porównanie pośrednie pomiędzy sorafenibem i lenwatynibem, również w populacji pacjentów ze zróżnicowanym rakiem tarczycy.*



W badaniu DECISION (mediana okresu obserwacji: 25,2 msc.) wykazano dłuższy PFS w grupie pacjentów otrzymujących sorafenib w porównaniu do grupy placebo (10,8 mies. vs 5,8 mies.; HR 0,59, 95% CI 0,45-0,76;  $p < 0,0001$ ), natomiast różnica PFS między grupą sorafenibu a grupą placebo nie była istotna statystycznie w subpopulacji pacjentów z niskozróżnicowanym rakiem tarczycy (PDTC). Wykazano natomiast różnice na niekorzyść sorafenibu dla jakości życia wg. kwestionariuszy FACT-G, EQ-5D oraz EQ-5D VAS.

Ograniczeniem analizy jest przedstawienie jedynie częściowych wyników (dotyczących przeżycia bez progresji choroby) dla wnioskowanej populacji (PDTC), która stanowiła ok. 10% pacjentów włączonych do badania DECISION. Nie odnaleziono również badań bezpośrednio porównujących skuteczność i bezpieczeństwo stosowania analizowanej interwencji z wybranym komparatorem (lenwatynibem).

#### Bezpieczeństwo stosowania

W badaniu DECISION wykazano częściej występujące w grupie sorafenibu, w stosunku do placebo, zdarzenia niepożądane ogółem, ciężkie zdarzenia niepożądane ogółem, wstrzymanie i zakończenie leczenia z powodu wystąpienia zdarzeń niepożądanych oraz zmniejszenie dawki z powodu wystąpienia zdarzeń niepożądanych. Do najczęstszych działań niepożądanych należały: zespół ręka-stopa, biegunka, łysienie, wysypka/złuszczenie, zmęczenie, utrata wagi i nadciśnienie tętnicze. Zespół ręka-stopa był najczęstszą przyczyną wstrzymania podawania sorafenibu, redukcji jego dawki oraz całkowitego wycofania leczenia. Najpoważniejszymi działaniami niepożdanymi wymienionymi w ChPL są: niedokrwienie i zawał serca, perforacja przewodu pokarmowego, zapalenie wątroby, krwawienie i przetłom nadciśnieniowy. Najczęstsze działania niepożądane to: biegunka, zmęczenie, łysienie, zakażenie, zespół ręka-stopa i wysypka.

Metaanaliza wykazała, iż stosowanie sorafenibu wiąże się ze znamienne wyższym ryzykiem zgonu niż w grupach kontrolnych - ryzyko względne 1,75.

#### Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Brak jest informacji o przeprowadzonej przez EMA lub FDA oceny stosunku relacji korzyści do ryzyka stosowania leku Nexavar w omawianym wskazaniu. Należy przy tym pamiętać, że niskozróżnicowany rak tarczycy (PDTC) został wyodrębniony z DTC jako osoba jednostka chorobowa w 2004 r.

W ocenie Rady wyniki badań wskazują na niewielką skuteczność sorafenibu w leczeniu chorych z PDTC, przy stosunkowo wysokiej częstości występowania działań niepożądanych mogących wpływać na jakość życia pacjentów.

#### Konkurencyjność cenowa

W toku procesu analitycznego zidentyfikowano jedną (inną niż leczenie wspomagające BSC) alternatywną technologię, która mogłaby zostać

zastosowana we wnioskowanym wskazaniu, w sytuacji wyczerpania innych możliwych do zastosowania w tym wskazaniu technologii medycznych finansowanych ze środków publicznych – lenwatynib. Ponieważ lenwatynibu nie ma obecnie na rynku polskim, w celu porównania kosztów leczenia z sorafenibem, zestawiono koszty obu leków przedstawione w wytycznych NICE 2018. Leczenie sorafenibem generuje nieco niższe koszty niż terapia lenwatynibem.

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

Do oszacowania rocznej populacji docelowej wykorzystano opinię ekspercką, która prognozuje, iż populacja we wskazaniu raka niskozróżnicowanego tarczycy wyniesie około 20 osób rocznie.

Oszacowany w ten sposób roczny koszt dla płatnika publicznego wyniesie ok. 3,4 mln zł w przypadku uwzględnienia ceny ze zlecenia Ministra Zdrowia oraz ok. 2 mln zł w przypadku uwzględnienia ceny wg komunikatu DGL. Jest to jednak oszacowanie obarczone niepewnością ze względu na brak dokładnych danych populacyjnych.

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

W rekomendacjach nie ma spójności dotyczącej klasyfikowania niskozróżnicowanego typu raka tarczycy. Niektóre wytyczne (NCCN 2019, NCI 2018) przedstawiają PDTC jako stadium raka zróżnicowanego o gorszym rokowaniu i rekomendują leczenie w ten sam sposób co raka zróżnicowanego – nierefundowane: sorafenib i lenwatynib. Rekomendacje polskie (Jarzqb 2018) i ESMO 2012 wskazują na nieco odmienny sposób leczenia (refundowane: chemioterapia doksorubicyną i cisplatyną oraz teleradioterapię). Biorąc pod uwagę powyższe oraz zapisy prawne dotyczące RDTL, jako komparator dla sorafenibu przyjęto więc stosowanie najlepszej terapii wspomagającej (BSC) oraz lenwatynib.

Brak jest badań bezpośrednio porównujących skuteczność sorafenibu względem lenwatynibu. Wyniki badań klinicznych porównujących oba leki z placebo wskazują na ich porównywalną skuteczność w zakresie wydłużenia czasu bez progresji choroby, przy czym wyższy wskaźnik odpowiedzi obserwowano u pacjentów leczonych lenwatynibem. W ramach porównania pośredniego wykazano, iż profil bezpieczeństwa obu leków był akceptowalny i porównywalny. Wyniki badań, szczególnie w stosunku do analizowanej, wąskiej grupy pacjentów, obarczone są dużą niepewnością.

#### Główne argumenty decyzji

Głównym argumentem przemawiającym za brakiem zasadności finansowania, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Nexavar

*we wskazaniu: niskozróżnicowany rak tarczycy, jest brak dowodów naukowych, które w wystarczającym stopniu dowodzą skuteczności klinicznej tej terapii. W jedynym badaniu klinicznym porównującym skuteczność zastosowania sorafenibu w porównaniu z placebo, w subpopulacji pacjentów z niskozróżnicowanym rakiem tarczycy (PDTC), nie wykazano korzyści z jego zastosowania.*

*W zleceniu Ministra Zdrowia zawarto informację, że dotychczas u pacjenta nieskuteczne było leczenie chirurgiczne oraz leczenie jodem-131.*

*Nexavar był oceniany w Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych we wskazaniach dotyczących zróżnicowanego raka tarczycy i raka rdzeniastego tarczycy. We wskazaniach dotyczących raka zróżnicowanego (pęcherzykowego, brodawkowatego i oksyfilnego) lek Nexavar uzyskał pozytywne opinie Rady Przejrzystości oraz pozytywne rekomendacje Prezesa Agencji. We wskazaniu raka rdzeniastego Nexavar został negatywnie zaopiniowany zarówno przez Radę Przejrzystości, jak i Prezesa AOTMiT.*

*Sorafenib był również przedmiotem oceny Agencji w 2015 roku w ramach programu lekowego: „Leczenie zaawansowanego raka tarczycy opornego na leczenie jodem radioaktywnym (ICD-10: C73)” – wskazanie szersze niż określone w obecnym zleceniu. Zarówno Stanowisko Rady Przejrzystości nr 11/2015 z dnia 9 lutego 2015 r., jak i Rekomendacja Prezesa AOTMiT nr 9/2015 z dnia 9 lutego 2015 r. w tym przypadku były negatywne.*

#### **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.422.70.2019 „Nexavar (sorafenib) we wskazaniu niskozróżnicowany rak tarczycy (ICD10: C73)”. Data ukończenia: 4 września 2019 r.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 287/2019 z dnia 9 września 2019 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Sandostatin LAR (oktreotydyd) we wskazaniu: makrogruczolak przysadki (ICD-10: D43.0)

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Sandostatin LAR (oktreotydyd), proszek i rozpuszczalnik do sporządzania zawiesiny do wstrzykiwań, ampułostrzykawka á 20 mg, we wskazaniu: makrogruczolak przysadki (ICD-10: D43.0), pod warunkiem stosowania u chorych z guzem czynnym hormonalnie, u których leczenie chirurgiczne nie jest możliwe, lub u których zakończyło się ono niepowodzeniem, a dotychczasowe leczenie farmakologiczne nie wykazało zadowalającej skuteczności.*

#### Uzasadnienie

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

*Przebieg naturalny większości gruczolaków przysadki jest łagodny, z niewielką dynamiką wzrostu. U około 30% chorych poddanych leczeniu operacyjnemu obserwuje się, jednak, odrost guza. W załączniku do zlecenia Ministra Zdrowia zawarte są informacje dotyczące pacjenta, dla którego wnioskowana jest oceniana terapia: jest to chory w wieku 8,5 roku, guz wydziela GH, PRL, ACTH; pacjent był dotychczas leczony bromokryptyną. U takich chorych brak aktywnego leczenia prowadzić może do głębokich zaburzeń endokrynologicznych, progresji miejscowej choroby prowadzącej do utraty wzroku i innych poważnych ubytkowych objawów neurologicznych, a w konsekwencji do śmierci.*

##### Skuteczność kliniczna i praktyczna

*Skuteczność kliniczna i praktyczna stosowania oktreotydydu w omawianym wskazaniu jest dobrze poznana w populacji chorych dorosłych. W przypadku dzieci nie odnaleziono badań w pełni odnoszących się do omawianej sytuacji klinicznej. Jedno badanie (Nozieres 2011) częściowo odnosiło się do omawianej sytuacji: był to opis 7 pacjentów pediatrycznych (wiek 5-17 lat) z gruczolakiem przysadki wydzielającym hormon wzrostu, leczonych oktreotydem lub lanreotydem. Wśród sześciu pacjentów leczonych analogami somatostatyny,*



normalizację IGF-1 (insulinopodobnego czynnika wzrostu 1) odnotowano u jednego pacjenta.

#### Bezpieczeństwo stosowania

Bezpieczeństwo stosowania oktreotydu w populacji pediatrycznej nie zostało zadowalająco poznane. U dorosłych najczęściej występującymi objawami niepożądanymi są biegunka, ból brzucha, nudności i zaparcie. Obserwowana też była kamica żółciowa, hiperglikemia i reakcje w miejscu wstrzyknięcia.

#### Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Ze względu na skąpe dane kliniczne relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania jest, w omawianym wskazaniu, trudna do oszacowania.

#### Konkurencyjność cenowa

Koszt 3-miesięcznej terapii preparatem Sandostatin LAR oszacowany na podstawie Obwieszczenia Ministra Zdrowia z dnia 2019-08-30 to 8 437 zł, koszt rocznej terapii to 33 748 zł.

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

Ze względu na brak danych umożliwiających szczegółowe oszacowanie wielkości populacji docelowej wiarygodne oszacowanie wpływu na wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorców nie jest możliwe.

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

Nie zidentyfikowano alternatywnej technologii mającej wskazanie rejestracyjne do zastosowania w makrogruczolaku przysadki (wydzielający GH, PRL, ACTH) u pacjentów pediatrycznych. Za alternatywę można, tym samym, uznać najlepsze leczenie wspomagające (BSC).

#### Uwagi Rady:

Rada zwraca uwagę, iż należy rozważyć leczenie neurochirurgiczne w ośrodku referencyjnym, doświadczonym w leczeniu przysadki (np. CZD, Warszawa).

#### **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.422.69.2019 „Sandostatin LAR (oktreotydu) we wskazaniu: makrogruczolak przysadki”. Data ukończenia: 04.09.2019.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

Opinia Rady Przejrzystości  
nr 288/2019 z dnia 9 września 2019 roku  
o projekcie programu „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania nadwagi i otyłości dla dzieci klas III szkół podstawowych z terenu miasta Żory”

*Rada Przejrzystości opiniuje negatywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania nadwagi i otyłości dla dzieci klas III szkół podstawowych z terenu miasta Żory”.*

### Uzasadnienie

*Oceniany projekt dotyczy poważnego i rozpowszechnionego problemu zdrowotnego, jakim jest nadwaga i otyłość u dzieci. Zawiera jednak wiele wad formalnych, a planowane interwencje oraz sposób realizacji projektu nie dają gwarancji osiągnięcia zakładanego celu zdrowotnego.*

*Program skierowany jest do uczniów klas III szkół podstawowych z terenu Miasta Żory oraz ich rodziców/opiekunów prawnych. Działania oferowane w ramach programu to: badanie przesiewowe z określeniem wskaźnika BMI, działania edukacyjne, spotkania z dietetykiem. W projekcie założono, że 100% populacji docelowej programu weźmie udział, tj. 751 osób, a do części związanej z poradnictwem dietetycznym ma zostać włączonych 8% populacji docelowej, tj. 60 dzieci rocznie (brak wskazania liczebności populacji rodziców/opiekunów prawnych).*

*W projekcie programu brak odniesienia się do danych uzyskanych na podstawie map potrzeb zdrowotnych. Zaplanowane w programie interwencje nie dają podstaw, aby osiągnąć cel główny w postaci zmniejszenia częstotliwości występowania nadwagi i otyłości wśród uczestników programu. Brakuje uwzględnienia interwencji multikomponentowych (obejmujących terapię behawioralną, komponent żywieniowy i aktywność fizyczną), które zalecane są w rekomendacjach (APA 2018, USPSTF 2017, AAFP 2017) oraz mają potwierdzoną skuteczność (Al-Khudairy 2017, Elvsas 2017, Mead 2017).*

*Cele szczegółowe wskazane w projekcie zostały sformułowane nieprawidłowo oraz brakuje do nich adekwatnych mierników. Nie wskazano zakresu, częstości spotkań, liczebności grup, osoby odpowiedzialnej za prowadzenie zajęć.*



*Mierniki dotyczące monitorowania programu zostały sformułowane nieprecyzyjnie.*

*W części ekonomicznej koszt porad dietetycznych jest niedoszacowany, nie wskazano dodatkowej pozycji kosztowej związanej z ewentualnymi grupowymi spotkaniami oraz brakuje uwzględnienia kosztów edukacji dla rodziców/opiekunów programu i kosztów związanych z akcją informacyjno-promocyjną.*

**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.441.111.2019 „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania nadwagi i otyłości dla dzieci klas III szkół podstawowych z terenu Miasta Żory” realizowany przez: Miasto Żory, Warszawa, wrzesień 2019 r. oraz Raportu nr OT.423.2.2018 „Profilaktyka nadwagi oraz otyłości wśród dzieci i młodzieży w ramach programów polityki zdrowotnej” z kwietnia 2019 r.





## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

Opinia Rady Przejrzystości  
nr 289/2019 z dnia 9 września 2019 roku  
o projekcie programu „Program profilaktycznych szczepień przeciwko  
pneumokokom dla osób 55+ mieszkańców Częstochowy  
na lata 2019-2023”

*Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktycznych szczepień przeciwko pneumokokom dla osób 55+ mieszkańców Częstochowy na lata 2019-2023”, pod warunkiem zaszczepienia wszystkich osób, które się zgłoszą i uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMIT.*

### Uzasadnienie

*Cel główny: poprawa stanu zdrowia osób dorosłych, zamieszkałych na terenie miasta Częstochowy poprzez przeprowadzenie skutecznych szczepień przeciwko pneumokokom u osób powyżej 55 roku życia, w celu obniżenia ryzyka ciężkiego przebiegu zakażeń pneumokokowych, nosicielstwa, powikłań po zakażeniu, jak również zmniejszenie kosztów związanych z leczeniem. Popularyzacja szczepień przeciwko *Streptococcus pneumoniae* wśród wszystkich mieszkańców Częstochowy.*

*Opiniowany projekt realizuje następujące priorytety: „zmniejszenie zachorowalności i przedwczesnej umieralności z powodu przewlekłych chorób układu oddechowego” oraz „zwiększenie skuteczności zapobiegania chorobom zakaźnym i zakażeniom, w tym przeciwdziałanie skutkom nieprawidłowej antybiotykoterapii” należące do priorytetów zdrowotnych wymienionych w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 27 lutego 2018 r. (Dz.U. 2018 poz. 469).*

*Populacja: osoby w wieku  $\geq 55$  lat, zamieszkałe na terenie miasta Częstochowy, które nie były szczepione przeciwko pneumokokom*

*Planowany termin wdrożenia programu i okres jego realizacji: lata 2019-2023.*

*Interwencja: szczepienia przeciwko pneumokokom (szczepionką 13-walentną, poprzedzone kwalifikacją lekarską); działania edukacyjne kierowane przede wszystkim do osób w wieku  $\geq 55$  lat.*

*Rada opiniowała w przeszłości podobne programy i tak w 2018 r. oceniono 5 PPZ dotyczących realizacji szczepień przeciwko pneumokokom wśród osób dorosłych*



(3 PPZ odnosiły się do osób z chorobami towarzyszącymi) i wszystkie otrzymały opinię warunkowo pozytywną.

*Problem zdrowotny: Zgodnie z szacunkami NIZP-PZH (Narodowy Instytut Zdrowia Publicznego w Polsce, Państwowy Zakład Higieny), co roku rejestrowanych jest w sumie ok. 3 300 przypadków inwazyjnych chorób o potwierdzonej etiologii pneumokokowej. Zgodnie z danymi od 2010 r. do 2015 r. w Polsce obserwowano wzrost wykrytych przypadków chorób wywołanych pneumokokami.*

*Obecnie w Polsce profilaktyka w postaci szczepień przeciwko pneumokokom wśród osób starszych jest realizowana wyłącznie poprzez szczepienia dobrowolne.*

*Cały koszt zakupu szczepionki (w ramach szczepień zalecanych) ponosi osoba szczepiona, natomiast badania kwalifikacyjne oraz wykonanie szczepienia finansowane są przez NFZ, o ile placówka, do której zgłosił się pacjent, zawarła stosowną umowę z NFZ.*

*Dowody naukowe i rekomendacje kliniczne:*

*W przypadku osób po 65 r.ż., szczepienie jest rekomendowane w 21 krajach, z czego w 3 (Belgia, Słowenia, Szwecja) jedynie w grupach ryzyka. W 9 ze wspomnianych 21 państw, szczepienia te nie są finansowane w ramach środków publicznych.*

*Szczepienia przeciwko pneumokokom zalecane są w ogólnej populacji osób starszych. Dolna granica wiekowa różni się w zależności od organizacji wydającej zalecenia:  $\geq 50$  r.ż. (PSO Program Szczepień Ochronnych 2019, NIL Narodowy Instytut Leków 2016, SATS/FIDSSA South African Thoracic Society 2017, STS 2016).*

*Wszyscy dorośli w wieku  $\geq 50$  lat, którzy nie byli wcześniej szczepieni przeciwko pneumokokom powinni otrzymać pojedynczą dawkę szczepionki PCV13. (SATS/FIDSSA South African Thoracic Society 2017, STS Saudi Thoracic Society 2016).*

*Szczepienia przeciwko pneumokokom wśród osób starszych powinny być realizowane w sposób systemowy i finansowane ze środków publicznych. Seniorzy z pewnością podporządkują się w sposób zgodny z obowiązującym prawem w ochronie zdrowia (KW w dziedzinie chorób zakaźnych, woj. mazowieckie).*

*Szczepienie osób starszych skoniugowaną 13-walentną szczepionką przeciwko pneumokokom zmniejszyło w ciągu 4 lat ryzyko zachorowania na pneumokokowe pozaszpitalne zapalenie płuc oraz IChP (Inwazyjna Choroba Pneumokokowa) wywołanego przez typy serologiczne pneumokoka uwzględnione w szczepionce (Bonten 2015, badanie CAPITA).*

*Realizacja PPZ w zakresie szczepień przeciwko pneumokokom wśród osób starszych powinna być prowadzona długofalowo, w sposób ciągły (KW*

*w dziedzinie chorób zakaźnych, woj. mazowieckie; KW w dziedzinie chorób zakaźnych, woj. wielkopolskie; Przewodniczący PTW).*

*Budżet:*

*Koszty całkowite: 60 000 zł (w pierwszym roku).*

*Źródła finansowania: miasto Częstochowa.*

*Ze względu na wagę problemu zdrowotnego, pozytywne rekomendacje kliniczne oraz istniejące dowody naukowe skuteczności interwencji Rada pozytywnie opiniuje wnioskowany program.*

**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.441.112.2019 „Program profilaktycznych szczepień przeciwko pneumokokom dla osób 55+ mieszkańców Częstochowy na lata 2019-2023” realizowany przez: Miasto Częstochowa, Warszawa, wrzesień 2019 oraz Aneksu „Szczepienia przeciwko pneumokokom wśród osób starszych – wspólne podstawy oceny” z grudnia 2018 r.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 290/2019 z dnia 9 września 2019 roku

o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej w zakresie szczepień ochronnych przeciwko grypie dla mieszkańców gminy Suwałki po 65 roku życia”

*Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej w zakresie szczepień ochronnych przeciwko grypie dla mieszkańców gminy Suwałki po 65 roku życia”, pod warunkiem uwzględnienia uwag 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”, należący do priorytetów wymienionych w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 27 lutego 2018 r. (Dz.U. 2018 poz. 469).*

*Wnioskodawca przedstawił obraz ogólny wirusa grypy, drogi zakażenia, typy wirusa oraz objawy choroby. W projekcie opisano także sposoby leczenia grypy oraz jej powikłania. Zwrócono również uwagę na działania profilaktyczne w postaci szczepień.*

*W ramach programu planowane jest przeprowadzenie działań informacyjno-edukacyjnych oraz wykonanie szczepień przeciwko wirusowi grypy.*

*Cel główny: „zwiększenie odporności populacyjnej na działanie wirusa grypy oraz zmniejszenie zapadalności na grypę i infekcje grypopochodne w perspektywie długoterminowej” – odnosi się do całej populacji, natomiast wnioskodawca zaplanował zaszczepić osoby w wieku powyżej 65 r.ż. Program nie przyniesie efektu populacyjnego, który pojawia się zgodnie z WHO przy 75% populacji zaszczepionej. W projekcie zaplanowano zaszczepienie w pierwszym roku ok. 10% populacji docelowej, a w roku 2020-2021 ok. 20% populacji docelowej. W związku z tym niepoprawne jest formułowanie celu odnoszącego się do całej populacji. Nie wskazano konkretnych, mierzalnych wartości.*

*W projekcie wskazano również 8 celów szczegółowych, tj. (1) „zmniejszenie ryzyka zakażenia wirusami grypy i zapobieganie powikłaniom grypowym, do których mogłyby dojść w wyniku zachorowań osób objętych programem”, (2)*



„zmniejszenie liczby zgonów w wyniku grypy i jej powikłań wśród osób objętych szczepieniem”, (3) „wytworzenie odporności swoistej u osób z grup zaszczepionych”, (4) „zmniejszenie liczby osób hospitalizowanych i liczby zgonów z powodu grypy i jej powikłań”, (5) „ocena stanu zdrowia osób przed wykonaniem szczepienia”, (6) „zwiększenie liczby osób stosujących szczepienia przeciw grypie”, (7) „wzrost świadomości zdrowotnej mieszkańców w zakresie potrzeby szczepień przeciw grypie” oraz (8) „zmotywowanie osób w wieku powyżej 65 roku życia do szczepień poprzez: udostępnianie materiałów edukacyjnych, stwarzanie optymalnych warunków do wykonania szczepień oraz wykonanie szczepień”. Zaproponowane cele szczegółowe nr 3, 5 oraz 8 stanowią działania. Należy przy tym zaznaczyć, iż poprawnie sformułowane cele mają stanowić rezultat podejmowanych działań.

W projekcie programu zaproponowano 16 mierników efektywności. Zostały one podzielone przez wnioskodawcę na „główne mierniki efektywności” oraz „dodatkowe mierniki”. Do „głównych mierników” wnioskodawca zalicza: (1) „liczbę osób, które zgłosiły się do programu w stosunku do pierwotnych założeń”, (2) „liczbę osób zaszczepionych”, (3) „odsetek zaszczepionych osób w wieku powyżej 65 r.ż., w ogólnej liczbie osób spełniających kryteria uczestnictwa w programie”, (4) „liczbę zachorowań na grypę i jej powikłań w stosunku do ogólnej liczby osób zaszczepionych w Gminie Suwałki”, (5) „współczynnik zapadalności i umieralności na grypę wśród mieszkańców Gminy Suwałki”, (6) „zwiększenie liczby osób stosujących szczepienia przeciw grypie” oraz (7) „zmniejszenie liczby hospitalizacji z powodu powikłań pogrypowych w każdym roku realizacji programu”. Mierniki efektywności nr 6 oraz 7 pokrywają się z zaproponowanymi przez wnioskodawcę celami szczegółowymi nr 6 i 4. Miernik nr 3 jest uzupełnieniem miernika nr 2. Nie zaproponowano mierników dla celów szczegółowych nr 5, 6, 7.

Jako „dodatkowe mierniki” wnioskodawca proponuje: (1) „liczbę hospitalizacji z powodu wirusa grypy i jej powikłań u osób powyżej 65 r.ż.”, (2) „liczbę i rodzaj powikłań pogrypowych takich jak zapalenie oskrzeli, płuc, zapalenie mięśnia sercowego, zapalenie mózgu, które stanowią bezpośrednie zagrożenie życia pacjenta powyżej 65 r.ż.”, (3) „liczbę wykonanych szczepień zalecanych przeciwko grypie poza programem”, (4) „spadek zachorowań na grypę w grupie osób zaszczepionych”, (5) „liczbę osób, których nie zaszczepiono z powodu przeciwwskazań zdrowotnych”, (6) „ilość wydanych ulotek, informacji”, (7) „liczbę osób uczestniczących w działaniach edukacyjnych”, (8) „liczbę instytucji, do których dotarła informacja o programie” oraz (9) „liczbę lekarzy i pielęgniarek włączonych do programu”. Mierniki nr 6, 7, 8 oraz 9 nie są miernikami efektywności programu, można je wykorzystać do oceny zgłaszalności do programu. Wnioskodawca nie zaproponował celu szczegółowego, który odpowiadałby miernikowi dodatkowemu nr 9.

*Opis etapów i działań programu został przedstawiony w dość chaotyczny sposób. Podczas pierwszego etapu wnioskodawca planuje opracowanie projektu programu. Zarówno w etapie drugim, jak i trzecim wskazuje na sposób wyboru realizatora programu oraz dwukrotnie wymienia wykonanie szczepienia w trzecim etapie programu.*

*Odnośnie ewaluacji programu, miernik nr 2: „liczba osób, u których wystąpiły niepożądane odczyny poszczepienne” nie odnosi się do efektu zdrowotnego, ponieważ 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 wielkości stanowi o wadze uzyskanego efektu programu.*

*Całkowity koszt realizacji programu został oszacowany na 48 000 zł. Ponadto wnioskodawca podkreśla, że w przypadku większej frekwencji „podejmie się działania w celu zabezpieczenia dodatkowych środków finansowych w budżecie Gminy Suwałki”.*

*Program ma być sfinansowany z budżetu Gminy Suwałki. Środki na realizację programu mają być zabezpieczone w budżecie Gminy w dziale „851 Ochrona zdrowia, rozdziale 85195 pozostała działalność”.*

#### **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.441.113.2019 „Program polityki zdrowotnej w zakresie szczepień ochronnych przeciwko grypie dla mieszkańców Gminy Suwałki po 65 roku życia” realizowany przez: Gminę Suwałki, Warszawa, wrzesień 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 291/2019 z dnia 9 września 2019 roku

o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej Gminy Rychliki.

Szczepienia profilaktyczne przeciwko grypie osób od 65 roku życia

X 2019 – XII 2019”

*Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej Gminy Rychliki. Szczepienia profilaktyczne przeciwko grypie osób od 65 roku życia X 2019 – XII 2019”, pod warunkiem uwzględnienia uwag 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”, wymieniony w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 27 lutego 2018 r. (Dz.U. 2018 poz. 469).*

*Wnioskodawca przedstawił opis problemu zdrowotnego, 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 2018 r. w Polsce odnotowano ponad 5,2 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  $\geq 65$  lat. We wniosku przywołano natomiast jedynie krajowe dane epidemiologiczne, nie odnosząc się do danych regionalnych ani lokalnych.*

*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. W 2017 r. przeciwko grypie zaszczepiło się 490 tys. osób w wieku powyżej 65 r.ż. W projekcie programu nie wskazano, że na liście leków refundowanych znajduje się 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 „zwiększenie liczby osób zaszczepionych przeciwko grypie wśród populacji objętej programem, a tym samym zapobieganie zachorowaniom na grypę i występowaniu powikłań pogrypowych”. Jego realizację zaplanowano na okres październik-grudzień 2019 r. Realizatorem świadczeń będzie wybrany w drodze konkursu ofert podmiot leczniczy, zobowiązany spełnić obowiązujące warunki prawne wykonywania szczepień ochronnych. W treści projektu programu znajduje się informacja o przeprowadzeniu badania lekarskiego przed szczepieniem.

W ramach programu planowane jest przeprowadzenie kampanii promocyjnej programu wspólnie przez organizatora i realizatora. W ramach tego informacje o szczepieniu zostaną przekazane do mieszkańców poprzez plakaty na tablicach ogłoszeń i w siedzibie realizatora, wpisy na stronie internetowej i mediach społecznościowych Urzędu Gminy, ogłoszenia parafialne i lokalne media. Ma się to odbyć głównie z wykorzystaniem środków technicznych i osobowych Urzędu. Wnioskodawca nie zaplanował natomiast edukacji pacjentów.

Programem szczepień przeciwko wirusowi grypy ma zostać objętych „ok. 25 % osób od 65 roku życia” spośród zameldowanych na stałe na terenie Gminy 606 osób w tym przedziale wiekowym (w świetle natomiast danych GUS grupa ta liczy 579 osób). Zgodnie z wytycznymi WHO efekt populacyjny w przypadku szczepień przeciw grypie zostaje osiągnięty 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 5.000 zł, przy całkowitym koszcie jednostkowym, który „nie przekroczy 45 zł” (szczegółowe koszty mają zostać przedstawione przez podmioty lecznicze przystępujące do konkursu ofert). Założono przy tym, że koszt akcji informacyjnej nie przekroczy 1% budżetu programu. Środki na realizację programu zostały zabezpieczone w budżecie Gminy Rychliki na 2019 r.

Należy zwrócić uwagę, w ślad za raportem AOTMiT, że zaproponowany cel główny jest trudno mierzalny w stosunku do zaproponowanego czasu trwania programu. Z tego samego powodu trudny do zmierzenia i osiągnięcia jest cel nr 2. Wnioskodawca nie przedstawił przy tym danych regionalnych dotyczących szczepień w poprzednich latach, do których można byłoby porównać dane pozyskane z programu. Z kolei cele szczegółowe nr 1 oraz nr 3 zostały



zapropozowane w formie działania. Zapropozowane mierniki odnoszą się tylko do celu głównego. Nie zaplanowano mierników efektywności dla celów szczegółowych.

Opis ewaluacji programu został przygotowany w sposób ogólny oraz nie przedstawia jasnego sposobu oceny jego efektywności. W szczególności brak wyjaśnienia źródła informacji w przedmiocie „liczby hospitalizacji z powodu chorób wywołanych wirusem grypy”.

Pobieżnie i wadliwie został także opracowany budżet programu. Zabezpieczone środki pozwolą na zaszczepienie około 111 osób, co stanowi 18,3% ogółu populacji osób starszych (a przy uwzględnieniu danych GUS – 19,2%), nie zaś 25%, jak wskazano w projekcie 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. Ta część programu wymaga zatem dopracowania.

W kontekście natomiast tego, że realizację programu zaplanowano wyłącznie na 2019 r. (październik-grudzień) podkreślenia wymaga, iż dla osiągnięcia trwałości efektów zdrowotnych w programach polityki zdrowotnej należy rozpatrywać przede wszystkim działania długofalowe. Zgodnie z opiniami ekspertów programy profilaktycznych szczepień ochronnych przeciwko grypie powinny być prowadzone w sposób cykliczny w każdym sezonie epidemicznym, aby uzyskać odporność populacyjną. Ponadto zwiększenie akceptacji społecznej poprzez pozytywne doświadczenia osób zaszczepionych może zapewnić trwałość efektów zdrowotnych. Istotną rolę w programach polityki zdrowotnej dotyczących profilaktyki grypy odgrywa także edukacja zdrowotna. Brak wiedzy na temat zapobiegania zachorowaniom oraz nieprawidłowa interpretacja informacji dotyczących szczepień przeciwko grypie może być ważną przyczyną nieuczestniczenia w programach szczepień ochronnych. Zintensyfikowane działania edukacyjne w celu poszerzenia wiedzy i świadomości społecznej co do skuteczności i bezpieczeństwa szczepień przeciwko grypie mogą przyczynić się do większego zainteresowania ze strony osób należących do populacji docelowej.

#### **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.441.114.2019 „Program polityki zdrowotnej Gminy Rychliki. Szczepienia profilaktyczne przeciwko grypie

osób od 65 roku życia” realizowany przez: Gminę Rychliki, Warszawa, wrzesień 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 292/2019 z dnia 9 września 2019 roku

o projekcie programu „Program rehabilitacji mieszkańców Gminy Kamieniec Żąbkowicki na lata 2019-2023”

*Rada Przejrzystości opiniuje negatywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program rehabilitacji mieszkańców Gminy Kamieniec Żąbkowicki na lata 2019-2023”.*

#### 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).*

*Planowany termin wdrożenia programu i okres jego realizacji w latach 2019-2023.*

*W programie wskazano populację objętą interwencjami, podając kryteria kwalifikacji, nie podając natomiast kryteriów wykluczenia. Zaproponowany, przez wnioskodawcę, cel główny i cele szczegółowe oraz mierniki efektywności PPZ nie spełniają kryteriów określonych przez Ministra Zdrowia w Rozporządzeniu z dnia 22 grudnia 2017 r. „w sprawie wzoru programu polityki zdrowotnej, wzoru raportu końcowego z realizacji programu polityki zdrowotnej oraz sposobu sporządzenia projektu programu polityki zdrowotnej i raportu końcowego z realizacji programu polityki zdrowotnej”.*

*Ponadto, w ocenianym PPZ, nie wskazano narzędzi pozwalających na pomiar celów projektu, a zaplanowane interwencje nie dają gwarancji realizacji celu. Tym bardziej, że na terenie gminy nie zostały zakontraktowane świadczenia gwarantowane z zakresu rehabilitacji, co utrudnić może realizację projektu i może mieć wpływ na jego koszty całkowite. Co istotne, budżet projektu nie został zaplanowany w sposób prawidłowy.*

*Projekt dotyczy sfinansowania świadczeń gwarantowanych z zakresu rehabilitacji leczniczej zgodnie z Rozporządzeniem Ministra Zdrowia z dnia 6 listopada 2013 r. (Dz. U. z 2013 r. poz. 1522) oraz Rozporządzeniem Ministra Zdrowia z dnia 9 maja 2017 r. zmieniającym rozporządzenie w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu rehabilitacji leczniczej (Dz.U. 2017, poz. 946).*



**Uwaga Rady:**

*Program proponuje szeroki zakres procedur fizykoterapeutycznych, w tym część o nieudowodnionej skuteczności.*

**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.441.115.2019 „Program rehabilitacji mieszkańców Gminy Kamieniec Żąbkowicki” realizowany przez: Gminę Kamieniec Żąbkowicki, Warszawa, wrzesień 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 293/2019 z dnia 9 września 2019 roku o projekcie programu „Rehabilitacja mieszkańców Gminy Barwice na lata 2019-2023”

*Rada Przejrzystości opiniuje negatywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Rehabilitacja mieszkańców Gminy Barwice na lata 2019-2023”.*

#### **Uzasadnienie**

*Przedmiotem oceny jest projekt programu polityki zdrowotnej zaplanowany do realizacji przez gminę Barwice, zakładający przeprowadzenie działań informacyjnych oraz zabiegów rehabilitacji medycznej wśród uczestników programu. W ramach programu zaplanowano szereg zabiegów fizykoterapeutycznych (jonoforeza, prądy diadynamiczne, prądy TENS, pole magnetyczne, galwanizacja, prądy interferencyjne, lampa SOLUX, krioterapia miejscowa azotem, ultradźwięki, prądy Traberta, laser punktowy) i kinezyterapeutycznych (cykloergometr, rotor kończyn górnych, UGUL [kabina do ćwiczeń i zawieszę]). Przed przystąpieniem do zabiegów zostanie określony rodzaj wskazanych procedur rehabilitacyjnych, ich liczba oraz czas trwania.*

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

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

*Głównym założeniem projektu programu jest „zwiększenie dostępności mieszkańcom gminy Barwice do zabiegów rehabilitacyjnych oraz poprawa i podtrzymanie ogólnej sprawności osób z przewlekłymi lub pourazowymi schorzeniami narządu ruchu, układu kostnego i mięśniowego lub ośrodkowego/obwodowego układu nerwowego. Zmniejszenie bólu, przywrócenie sprawności i funkcji narządów organizmu w tym kręgosłupa, narządów ruchu, poprawa sprawności mięśni i stawów, poprawa koordynacji ruchowej i mięśniowej”. W rzeczywistości cel jest złożony z trzech odrębnych założeń – co za tym idzie utrudniony jest prawidłowy dobór mierników efektywności. W przypadku pierwszej części celu głównego (zwiększenie*



dostępności) brak jest efektu zdrowotnego. W treści projektu programu zaproponowano 5 mierników efektywności.

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<sup>1</sup>.

Wnioskodawca podkreśla, że „od 1 lipca 2019 roku gabinet rehabilitacyjny nie ma podpisanego kontraktu z NFZ. Osoby potrzebujące rehabilitacji muszą korzystać z prywatnych zabiegów, co oznacza, że wiele z osób potrzebujących w ogóle nie dociera do gabinetu rehabilitacyjnego ze względów finansowych”.

W projekcie programu koszt jednostkowy oszacowano na 350 zł/os. (rehabilitacja w 10-dniowym cyklu). Ze względu na fakt braku przyjęcia przez wnioskodawcę minimalnej liczby świadczeń w ramach jednego dnia cyklu, nie jest możliwe oszacowanie średniego kosztu jednego zabiegu. Wnioskodawca stwierdził, że w 2019 r. koszt wyniesie 10 tys. zł (prowadzenie działań od 01.11.2019 r.). W kolejnych latach koszt roczny ma wynieść 60 tys. zł. Koszt całkowity dla całego okresu trwania programu został oszacowany na 250 tys. zł. Program ma być finansowany z budżetu Gminy Barwice.

**Uwaga Rady:**

Rada stoi na stanowisku, iż program powinien zostać poprawiony i ponownie przedstawiony do rozpatrzenia. W ramach korekty należy uwzględnić uwagi zawarte w raporcie AOTMiT. W propozycji należy również zrezygnować ze wszelkich procedur o nieudowodnionej skuteczności, w szczególności z zakresu metod fizykoterapeutycznych. Rada zwraca uwagę, iż metody kinezyterapii posiadają dowody na skuteczność i powinny być preferowane.

#### **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.441.116.2019 „Rehabilitacja mieszkańców Gminy Barwice na lata 2019-2023” realizowany przez: Gminę Barwice, Warszawa, wrzesień 2019 oraz Aneksu „Programy z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży” z sierpnia 2016 r.

<sup>1</sup> MZ (2018). Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 30 stycznia 2018 r. w sprawie ogłoszenia jednolitego tekstu rozporządzenia Ministra Zdrowia w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu rehabilitacji leczniczej (Dz. U. 2018, poz. 465). Pozyskano z: <http://prawo.sejm.gov.pl/isap.nsf/DocDetails.xsp?id=WDU20180000465>, dostęp z 02.09.2019 r..



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

Opinia Rady Przejrzystości  
nr 294/2019 z dnia 9 września 2019 roku  
w sprawie zalecanych technologii medycznych, działań  
przeprowadzanych w ramach programów polityki zdrowotnej  
oraz warunków ich realizacji dla problemu zdrowotnego: profilaktyka  
i wczesne wykrywanie osteoporozy pierwotnej

*Rada Przejrzystości uważa za zasadne finansowanie w ramach programów polityki zdrowotnej:*

1) Edukacji w zakresie profilaktyki osteoporozy,

2) Wczesnego wykrywania osteoporozy,

pod następującymi warunkami:

1) Uściślenia populacji docelowej:

*Wcześniejsze programy obejmowały profilaktykę i wykrywanie osteoporozy pierwotnej, obecnie w modelowym rozwiązaniu populacja jest szersza o elementy wtórnej osteoporozy – (przyjmowanie sterydów), dodatkowo modelowe rozwiązanie nie powinno jednoznacznie obejmować populacji kobiet, ale również mężczyzn powyżej 65 roku życia z czynnikami ryzyka, dla których przewidziane jest narzędzie FRAX, a najnowsze raporty jednoznacznie wskazują na problem powikłań w tej grupie pacjentów z powodu braku wczesnej profilaktyki;*

2) Doprecyzowania w modelu zapisu dotyczącego zgody na używanie kalkulatora FRAX.PL zgodnego z regulaminem Uniwersytetu Sheffield i zakupu licencji;

3) Uściślenia pojęcia „przedstawiciel zawodu medycznego” w punkcie Ocena ryzyka złamania z użyciem narzędzia FRAX PL, poprzez rozszerzenie wskazanych grup o ratowników medycznych, techników, lekarzy stomatologii, farmaceutów, laborantów lub wykreślenie podanych przykładów;

4) Doprecyzowania działań informacyjnych i kanałów przekazu informacji o programie.

*Jednocześnie Rada wyraża pozytywną opinię o modelowym rozwiązaniu pn. „Program polityki zdrowotnej w zakresie wykrywania osteoporozy”*



*i sugeruje uproszczenie tytułu, a po naniesieniu korekt rozważenie stosowania go przez jednostki samorządu terytorialnego.*

## **Uzasadnienie**

### Problem zdrowotny

*Osteoporoza to układowa choroba szkieletu, charakteryzująca się zwiększonym ryzykiem złamań kości w następstwie zmniejszenia ich odporności mechanicznej. Odporność mechaniczna kości jest uwarunkowana gęstością mineralną i jakością tkanki kostnej. Do złamania niskoenergetycznego (patologicznego) może dojść nie tylko z powodu osteoporozy (np. z powodu nowotworu). Złamanie niskoenergetyczne definiuje się jako złamanie pod wpływem siły, która nie łamie zdrowej kości (upadek z wysokości własnego ciała lub wystąpienie złamania samoistnego).*

### Rekomendowane i nierekomendowane technologie medyczne, działania, warunki realizacji

*W ramach świadczeń gwarantowanych w ramach ambulatoryjnej opieki specjalistycznej (AOS) realizowana jest „Porada specjalistyczna – leczenie osteoporozy”. W ramach ww. porady realizowane są badania densytometryczna DXA kręgosłupa i kości udowej, badania laboratoryjne i mikrobiologiczne, USG oraz RTG.*

*W 2019 roku rozpoczęła się realizacja Programu Profilaktyki Osteoporozy, do którego w dniu 19 grudnia 2017 r. Prezes AOTMiT wydał pozytywną opinię. Program skierowany jest do kobiet w wieku 50-70 bez zdiagnozowanej osteoporozy. W ramach programu wykonywane są konsultacje na poziomie POZ, AOS, badanie densytometryczne kości kręgosłupa lędźwiowego i jednej z szyjek kości udowej, kości kręgosłupa lędźwiowego, jednej z szyjek kości udowej; RTG boczne kręgosłupa, kości przedramienia, kości ramienia, bliższego końca kości udowej.*

### Dowody naukowe

*Zalecone w modelowym rozwiązaniu i raporcie analitycznym AOTMiT wymagają weryfikacji populacji docelowej.*

### Opcjonalne technologie medyczne

*W modelowym szablonie ujęto najbardziej efektywne.*

### Wskaźniki monitorowania i ewaluacji

*Wskazane w modelowym rozwiązaniu i raporcie analitycznym AOTMiT.*

### Uwagi Rady:

*Rada zwraca uwagę na konieczność zaangażowania POZ/lekarza rodzinnego zarówno do identyfikacji grup ryzyka, wykrywania osteoporozy,*



*jak i prowadzenia działań zapobiegających złamaniom. Korekta programu winna uwzględniać te aspekty.*

**Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 48aa ust. 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 1373), z uwzględnieniem raportu „Profilaktyka i wczesne wykrywanie osteoporozy pierwotnej w ramach programów polityki zdrowotnej”, Warszawa, październik 2018.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 80/2019 z dnia 9 września 2019 roku  
w sprawie zmiany technologii medycznej w zakresie rehabilitacji  
pediatrycznej

*Rada Przejrzystości uważa za zasadną zmianę technologii medycznych w zakresie rehabilitacji pediatrycznej, jako elementu „Koncepcji zmian organizacji i funkcjonowania rehabilitacji leczniczej w systemie ochrony zdrowia w Polsce”, pod warunkiem oceny jej następstw w programie pilotażowym.*

### Uzasadnienie

#### Problem decyzyjny

*Obecnie największym problemem jest zbyt długi i zróżnicowany geograficznie czas oczekiwania na świadczenia rehabilitacyjne. Ze względu na brak precyzyjnych kryteriów włączenia pacjenta na rehabilitację oraz stosunkowo niską wycenę świadczeń, częstym zjawiskiem jest preferowanie przez świadczeniodawców pacjentów lżejszych, a unikanie przyjmowania pacjentów cięższych.*

*Proponowane projekty świadczeń w zakresie rehabilitacji pediatrycznej stanowią integralny element „Koncepcji zmian organizacji i funkcjonowania rehabilitacji leczniczej w Polsce”. Zaproponowano połączenie świadczeń rehabilitacyjnych udzielanych dzieciom w jeden większy zakres. Świadczenia te miałyby swoją specyfikę skierowaną do pacjentów w wieku 0-18 lat. Zmiana technologii medycznych w zakresie rehabilitacji pediatrycznej ma polegać na wyodrębnieniu projektów świadczeń poprzez: a) zdefiniowanie profilu pacjenta za pomocą kryteriów kwalifikacji, b) zdefiniowaniu profili i rodzaju interwencji, c) dobór profili i rodzajów interwencji do poziomów opieki (miejsca udzielania świadczeń), d) wydzielenie odrębnego zakresu w ramach rehabilitacji leczniczej.*

#### Dowody naukowe

*Ilość i jakość dowodów naukowych oceniających skuteczność interwencji objętych zakresem rehabilitacji pediatrycznej jest ograniczona. Wytyczne praktyki klinicznej w dużym stopniu opierają rekomendacje na uzgodnieniach autorów. Wszyscy eksperci wskazują na zasadność zróżnicowania świadczeń rehabilitacyjnych dla dzieci w zależności od potrzeb terapeutycznych.*



### Problem ekonomiczny

*W proponowanych rozwiązaniach zakłada się wprowadzenie całkiem nowych, nie funkcjonujących dzisiaj świadczeń, które nie zostały wycenione. Ponieważ postuluje się zmiany składów zespołów terapeutycznych, intensywności rehabilitacji i warunków jej udzielania, zależne od obiektywnych potrzeb pacjentów mierzonych ich stanem funkcjonalnym, koszty udzielanych świadczeń rehabilitacyjnych ulegną zmianie. Wielkość tej zmiany jest jednak na chwilę obecną niemożliwa do oceny. Proponowany schemat organizacyjny obejmuje także bardzo znaczące, ale trudne do dobrego szacowania przepływy chorych. W analizie wpływu proponowanych zmian na budżet oparto się na wielu roboczych założeniach, mających w większości charakter hipotetyczny. Pomiędzy wynikami analizy, a rzeczywistym wpływem proponowanych zmian na wydatki płatnika mogą zatem wystąpić znaczące różnice.*

### Główne argumenty decyzji

*Proponowany model jest zgodny z poprzednio akceptowanymi przez Radę zmianami w organizacji rehabilitacji leczniczej oraz koncepcją zmian w organizacji i funkcjonowaniu rehabilitacji leczniczej w systemie ochrony zdrowia w Polsce. Wyodrębnienie dobrze zdefiniowanych poziomów opieki i określenie kryteriów kwalifikacji do świadczeń, a także oparcie technologii medycznych o profile interwencji stanowią element porządkujący system. Duża niepewność co do kosztów systemu uzasadnia wprowadzenie zmian organizacyjnych w zakresie rehabilitacji pediatrycznej w formie pilotażowej, zsynchronizowanej z pozostałymi zmianami modułowymi, tak aby planowane przesunięcia pomiędzy poziomami opieki nie spowodowały wykluczenia części pacjentów z opieki rehabilitacyjnej. Program pilotażowy powinien pozwolić na ograniczenie znaczącej niepewności dotyczącej skutków organizacyjnych, kosztów wprowadzanych zmian oraz niezbędnych zasobów ludzkich.*

### **Tryb wydania stanowiska**

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2018 r., poz. 1510, z późn. zm.), w związku z art. 39 ust. 3 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 784 z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr: AOTMiT-WS.431.6.2019 „Zmiana technologii medycznych w zakresie rehabilitacji pediatrycznej”. Data ukończenia: 5 września 2019 r. Wybrane propozycje stanowią element dokumentu „Koncepcji zmian organizacji i funkcjonowania rehabilitacji leczniczej w systemie ochrony zdrowia w Polsce”.