



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

BP.401.53.2019.LA

Protokół nr 51/2019
z posiedzenia Rady Przejrzystości
w dniu 23 grudnia 2019 roku
w siedzibie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (Agencji)

Piotr Szymański otworzył posiedzenie o godzinie 10:04.

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

1. Anna Cieślik
2. Anna Gręziak
3. Dorota Kilańska
4. Michał Myśliwiec
5. Rafał Niżankowski
6. Tomasz Pasierski
7. Tomasz Romańczyk
8. Piotr Szymański – prowadził posiedzenie

Proponowany porządek obrad:

1. Ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Opdivo (nivolumab) we wskazaniu: przerzuty raka płaskonabłonkowego do węzłów chłonnych szyi z nieznanego ogniska pierwotnego (ICD-10: C77.0).
3. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Kadcyła (transtuzumab emtansine) we wskazaniu: rak piersi z przerzutami do kości i OUN (ICD-10: C50.8) w populacji męskiej.
4. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Zelboraf (wemurafenib) we wskazaniu: białaczka włochatokomórkowa (ICD-10: C91.4).
5. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Darzalex (daratumumab) we wskazaniu: białaczka plazmatycznokomórkowa (ICD-10: C90.1).
6. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Lynparza (olaparib) we wskazaniu: zaawansowany rak jajnika o niskim stopniu zróżnicowania (ICD-10: C56).



7. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Kiovig (immunoglobulinum humanum) we wskazaniu: zespół Guillaine-Barré (ICD-10: G61.0).
8. Przygotowanie opinii o projektach programów polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego:
 - 1) „Program profilaktyki chorób układu krążenia w Gminie Aleksandrów Łódzki”,
 - 2) „Rehabilitacja lecznicza mieszkańców gminy Kunice”,
 - 3) „Szczepienia przeciw meningokokom dla dzieci z Gminy Pyskowice na lata 2019-2022”,
 - 4) „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania nadwagi i otyłości dla dzieci klas III szkół podstawowych z terenu miasta Żory”,
 - 5) „Program profilaktycznych szczepień przeciw pneumokokom dla mieszkańców miasta Płocka w wieku 65 lat w latach 2020-2022”,
 - 6) „Program profilaktyki i wczesnej diagnostyki boreliozy w Gminie Długoleś na lata 2020-2024”,
 - 7) „Program zdrowotny szczepień przeciw meningokokom dla dzieci z Gminy Czemierniki na lata 2020-2021”,
 - 8) „Program szczepień profilaktycznych przeciwko meningokokom w Gminie Buk na lata 2020-2024”,
 - 9) „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania osteoporozy w gminie Buk”,
 - 10) „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania nadwagi i otyłości wśród dzieci klas III szkoły podstawowej w Gminie Buk na lata 2020-2024”,
 - 11) „Program profilaktyki raka szyjki macicy w gminie Buk na lata 2020-2024”,
 - 12) „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania wad postawy wśród dzieci w wieku szkolnym w gminie Buk”.
9. Losowanie składu Zespołu na kolejne posiedzenia Rady.
10. Zakończenie posiedzenia.

Ad 1. Rada jednogłośnie (9 głosów „za”) zatwierdziła porządek obrad.

Tomasz Romańczyk zgłosił konflikt interesów w zakresie leku Opdivo, w związku z czym Rada jednogłośnie (8 głosów „za”) wyłączyła go z udziału w pracach w zakresie pkt. 2 porządku obrad.

Ad 2. Analityk Agencji streścił raport w sprawie leku Opdivo (RDTL) we wskazaniu dot. przerzutów raka płaskonabłonkowego do węzłów chłonnych szyi, a propozycję opinii Rady przedstawił Michał Myśliwiec.

W trakcie prezentacji, na posiedzenie przybył Maciej Karaszewski który nie zadeklarował konfliktu interesów.

W dyskusji głos zabrali: Michał Myśliwiec, Tomasz Pasierski i Piotr Szymański, po czym Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 1 do protokołu).

Ad 3. Analityk Agencji podsumował informacje z raportu w sprawie leku Kadcyła (RDTL) we wskazaniu dot. raka piersi z przerzutami do kości i OUN w populacji męskiej, a propozycję opinii Rady przedstawił Michał Myśliwiec.

Wobec braku głosów w dyskusji, prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 2 do protokołu).

Ad 4. Analityk Agencji omówił dane z raportu w sprawie leku Zelboraf (RDTL) we wskazaniu dot. białaczki włochatokomórkowej, a propozycję opinii Rady przedstawił Tomasz Romańczyk.

Wobec braku głosów w dyskusji, prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 3 do protokołu).

Ad 5. Analityk Agencji zaprezentował najważniejsze informacje z raportu w sprawie leku Darzalex (RDTL) we wskazaniu dot. białaczki plazmatycznokomórkowej, a propozycję opinii Rady przedstawił Tomasz Romańczyk.

W dyskusji głos zabrali: Tomasz Romańczyk, Michał Myśliwiec, Piotr Szymański, Tomasz Pasiński i Anna Gręziak, po czym Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 6 głosami „za”, przy 3 głosach „przeciw” (9 osób obecnych) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 4 do protokołu).

W tym miejscu, na posiedzenie przybył Artur Zaczyński który nie zadeklarował konfliktu interesów.

Ad 6. Analityk Agencji streścił informacje z raportu w sprawie leku Lynparza (RDTL) we wskazaniu dot. zaawansowanego rak jajnika, a propozycję opinii przedstawił Piotr Szymański.

W dyskusji głos zabrali: Piotr Szymański, Maciej Karaszewski, Michał Myśliwiec i Anna Gręziak, po czym Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych, Rafał Niżankowski nie brał udziału w głosowaniu z uwagi na chwilową nieobecność na sali) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 5 do protokołu).

Ad 7. Analityk Agencji podsumował najważniejsze informacje z raportu w sprawie leku Kiovig (RDTL) we wskazaniu: zespół Guillaine-Barré.

W ramach wstępnej dyskusji głos zabrali: Piotr Szymański, Artur Zaczyński, Maciej Karaszewski, Rafał Niżankowski i Tomasz Romańczyk, a następnie propozycję opinii Rady przedstawił Artur Zaczyński.

Wobec innych głosów w dyskusji Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 6 do protokołu).

Ad 8 1) Analityk Agencji omówił program polityki zdrowotnej gminy Aleksandrów Łódzki w zakresie profilaktyki chorób układu krążenia, a propozycję opinii Rady przedstawił Artur Zaczyński.

W dyskusji głos zabrali: Piotr Szymański, Tomasz Pasiński, Michał Myśliwiec, Tomasz Romańczyk i Dorota Kilańska, po czym Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 7 do protokołu).

2) Analityk Agencji omówił program polityki zdrowotnej gminy Kuźnice w zakresie rehabilitacji leczniczej, a propozycję opinii Rady przedstawiła Anna Cieślik.

Wobec braku głosów Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych, Tomasz Pasiński nie brał udziału w głosowaniu z uwagi na chwilową nieobecność na sali) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 8 do protokołu).

3) Analitik Agencji omówił program polityki zdrowotnej gminy Pyskowice w zakresie szczepienia przeciw meningokokom, a propozycję opinii Rady przedstawiła Anna Cieślik.

Wobec braku głosów Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych, Tomasz Pasierski nie brał udziału w głosowaniu z uwagi na chwilową nieobecność na sali) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 9 do protokołu).

4) Analitik Agencji omówił program polityki zdrowotnej miasta Żory w zakresie profilaktyki i wczesnego wykrywania nadwagi i otyłości dla dzieci, a propozycję opinii Rady przedstawiła Anna Gręziak.

W dyskusji głos zabrali: Dorota Kilańska i Michał Myśliwiec, po czym Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 9 głosami „za”, przy 1 głosie „przeciw” (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 7 do protokołu).

5) Analitik Agencji omówił program polityki zdrowotnej miasta Płocka w zakresie profilaktycznych szczepień przeciw pneumokokom, a propozycję opinii Rady przedstawiła Anna Gręziak.

Wobec braku innych głosów Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych, Anna Cieślik nie brała udziału w głosowaniu z uwagi na chwilową nieobecność na sali) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 11 do protokołu).

6) Analitik Agencji omówił program polityki zdrowotnej gminy Długotłęka w zakresie profilaktyki i wczesnej diagnostyki boreliozy, a propozycję opinii Rady przedstawił Maciej Karaszewski.

W dyskusji i formułowaniu opinii głos zabrali: Michał Myśliwiec, Piotr Szymański, Tomasz Romańczyk i Tomasz Pasierski, po czym Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 12 do protokołu).

7) Analitik Agencji omówił program polityki zdrowotnej gminy Czemierniki w zakresie szczepień przeciw meningokokom, a propozycję opinii Rady przedstawił Maciej Karaszewski.

Wobec braku innych głosów Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 13 do protokołu).

8) Analitik Agencji omówił program polityki zdrowotnej gminy BUK w zakresie szczepień profilaktycznych przeciwko meningokokom, a propozycję opinii Rady przedstawiła Dorota Kilańska.

Wobec braku innych głosów Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 14 do protokołu).

9) Analitik Agencji omówił program polityki zdrowotnej gminy BUK w zakresie profilaktyki i wczesnego wykrywania osteoporozy, a propozycję opinii Rady przedstawiła Dorota Kilańska.

W dyskusji głos zabrali: Dorota Kilańska, Piotr Szymański i Michał Myśliwiec, po czym Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 15 do protokołu).

10) Analitik Agencji omówił program polityki zdrowotnej gminy BUK w zakresie profilaktyki i wczesnego wykrywania nadwagi i otyłości wśród dzieci, a propozycję opinii Rady przedstawił Tomasz Pasierski.

W dyskusji głos zabrali: Maciej Kraszewski, Dorota Kilańska, Piotr Szymański i Rafał Niżankowski, po czym Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 6 głosami „za”, przy 4 głosach „przeciw” (10 osób obecnych) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 16 do protokołu).

11) Analityk Agencji omówił program polityki zdrowotnej gminy BUK w zakresie profilaktyki raka szyjki macicy, a propozycję opinii Rady przedstawił Piotr Szymański.

W dyskusji głos zabrali: Tomasz Pasierski, Piotr Szymański, Tomasz Romańczyk i Dorota Kilańska, po czym Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 17 do protokołu).

12) Analityk Agencji omówił program polityki zdrowotnej gminy BUK w zakresie profilaktyki i wczesnego wykrywania wad postawy wśród dzieci, a propozycję opinii Rady przedstawił Rafał Niżankowski.

Wobec braku innych głosów Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 18 do protokołu).

Ad 9. Analityk Agencji streścił raport w sprawie substancji czynnej peginterferonum alfa-2a (wskazania pozarejestacyjne) we wskazaniu: chłoniaki skórne T-komórkowe, a propozycję opinii Rady przedstawił Tomasz Pasierski.

W dyskusji głos zabrali: Artur Zaczyński, Maciej Karaszewski, Piotr Szymański, Rafał Niżankowski i Michał Myśliwiec, po czym Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 19 do protokołu).

Ad 10. Przeprowadzono losowanie składu Zespołu na posiedzenie Rady w dniu 20 stycznia 2020 r.

Ad 11. Prowadzący zakończył posiedzenie się o godzinie 13:48.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 418/2019 z dnia 23 grudnia 2019 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych,
w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku
Opdivo (nivolumab) we wskazaniu: przerzuty raka
płaskonabłonkowego do węzłów chłonnych szyi z nieznanego ogniska
pierwotnego (ICD-10: C77.0)

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Opdivo (nivolumab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, fiołka à 10 mg/ml, we wskazaniu: przerzuty raka płaskonabłonkowego do węzłów chłonnych szyi z nieznanego ogniska pierwotnego (ICD-10: C77.0), pod warunkiem dobrego stanu funkcjonalnego chorego.

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Wniosek dotyczy pacjenta po leczeniu operacyjnym, radioterapii oraz chemioterapii cisplatyną z fluorouracylem (PF), który ma przerzuty raka płaskonabłonkowego do węzłów chłonnych szyi, z nieznanego ogniska pierwotnego. Termin „rak o nieznanym ognisku pierwotnym” (ang. carcinoma of unknown primary syndrome, CUP-syndrome) stosowany jest do opisu złośliwego procesu nowotworowego, w którym czynności diagnostyczne wykazują jedynie obecność przerzutów nowotworowych o obrębie szyi, przy braku identyfikacji guza pierwotnego. Węzłowa manifestacja nowotworu obejmuje dużą, heterogeniczną grupę zmian złośliwych, wśród których najczęściej spotykany jest rak gruczołowy (około 50%). Zgodnie z opinią eksperta klinicznego w dziedzinie onkologii klinicznej „przerzuty raka płaskonabłonkowego do węzłów chłonnych szyi bez ustalonego ogniska pierwotnego pochodzą najczęściej z raka regionu głowy i szyi”. Zgodnie z danymi zidentyfikowanymi w publikacji Szantyr 2016 ponad 75% przerzutów do węzłów chłonnych głowy i szyi pochodzi z ogniska pierwotnego w tym rejonie, jednak przerzuty do węzłów chłonnych szyi dają także odległe nowotwory złośliwe. W ok. 15% przypadków przerzuty pochodzą z klatki piersiowej i jamy brzusznej: np. nowotwory złośliwe oskrzela i płuca mogą



dawać przerzuty do węzłów chłonnych grupy IV (węzły szyjne dolne i nadobojczykowe przyśrodkowe) oraz sutka, jelita grubego, trzustki i prostaty, które dają przerzuty do węzłów chłonnych grupy V (węzły chłonne tylnego trójkąta szyi i nadobojczykowe boczne).

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Nie zidentyfikowano badań oceniających skuteczność kliniczną stosowania niwolumabu w ocenianym wskazaniu. Nie odnaleziono danych naukowych dotyczących zastosowania niwolumabu stricte we wnioskowanej populacji, ale jest 5 opisów przypadków, które dotyczą przerzutów raka płaskonabłonkowego ze znanych lokalizacji pierwotnych, do węzłów chłonnych szyi (Baetting 2019, Schwab 2019, Pandey 2019, Schwab 2018 oraz Schwab 2016). Wykazano w nich całkowitą remisję raka płaskonabłonkowego szyjki macicy z przerzutami m.in. do węzłów chłonnych nadobojczykowego i okołoprzełykowych. Terapia trzeciej linii, radioterapia i zastosowanie niwolumabu, doprowadziły do całkowitej remisji choroby, utrzymującej się po 22 miesiącach od rozpoczęcia podawania niwolumabu (Baetting 2019). Opisano też częściową remisję w raku płaskonabłonkowym dolnej wargi z przerzutami do węzła podżuchwowego. Po około 7 miesiącach od momentu przerwania leczenia niwolumabem, badania kontrolne w dalszym ciągu wskazywały na chorobę stabilną bez oznak progresji guza (Schwab 2019). W publikacji Pandey 2019, opisującej przypadek 80-letniej kobiety z rakiem płaskonabłonkowym w okolicy pachwiny, z przerzutami do węzłów chłonnych. Po leczeniu niwolumabem, węzły chłonne przestały być wyczuwalne palpacyjnie. Po 5 cyklach leczenia tomografia komputerowa jamy brzusznej wykazała zmniejszenie rozmiarów węzłów chłonnych. W publikacji Schwab 2018 opisano przypadek mężczyzny z rakiem płaskonabłonkowym głowy i szyi, z przerzutami do węzłów chłonnych szyi. Po terapii niwolumabem i ipilimumabem, w tomografii komputerowej przeprowadzonej 4 miesiące po rozpoczęciu terapii osiągnięto prawie całkowitą remisję guza. Po kolejnych dwóch miesiącach zaobserwowano miejscowy nawrót guza. Rozpoczęto radioterapię jonową oraz kontynuowano monoterapię niwolumabem, uzyskując stabilizację choroby. W publikacji Schwab 2016 opisano przypadek mężczyzny z przewlekłą białaczką limfatyczną i rakiem prostaty w wywiadzie oraz ze zdiagnozowanym, rakiem płaskonabłonkowym skóry głowy z przerzutami. Po dwóch liniach nieskutecznej chemioterapii i radioterapii (progresja choroby), pacjent rozpoczął terapię niwolumabem. Po 4 cyklach leczenia wykonano tomografię komputerową, która ujawniła znaczącą odpowiedź na leczenie – regresję głównego guza w szyjnym węźle chłonnym oraz regresję zmian w płucach. Pozytywna odpowiedź na leczenie niwolumabem trwała co najmniej 5 miesięcy.

Wg. opinii eksperta (Konsultant Wojewódzki w dziedzinie onkologii klinicznej): „Biorąc pod uwagę udowodnioną skuteczność immunoterapii w leczeniu raka płaskonabłonkowego: raka regionu głowy i szyi oraz raka płuca, oraz brak alternatywy w leczeniu tej populacji chorych, wnioskowana technologia jest uzasadniona z medycznego punktu widzenia”.

Bezpieczeństwo stosowania

W 4 z 5 opisów przypadku odniesiono się do bezpieczeństwa/tolerancji stosowania niwolumabu. W publikacji *Beating* 2019 opisano, że przez pierwsze 8 miesięcy terapia niwolumabem była dobrze tolerowana, a później wystąpiło zapalenie sromu i okolicy odbytu, z owrzodzeniem i epidermolizą, zaklasyfikowane jako zdarzenie niepożądane. W publikacji *Schwab* 2019, po 7 cyklu leczenia u pacjenta zaobserwowano postępujące objawy takie jak: duszność, osłabienie oraz dezorientacja. Rozwinęło się ostre uszkodzenie nerek III stopnia z hiperkaliemią oraz kardiomiopatia takotsubo, prawdopodobnie spowodowane stosowaną immunoterapią. W publikacji *Schwab* 2018 opisano, że 10 dni po rozpoczęciu terapii niwolumabem i ipilimumabem zaobserwowano wzrost czynnika reumatoidalnego oraz enzymów wątrobowych. W publikacji *Schwab* 2016 nie zaobserwowano zdarzeń niepożądanych, poza uogólnionym osłabieniem mięśniowym oraz zmęczeniem z powodu przejściowej hemolizy. Do zdarzeń niepożądanych wymienionych w ChPL *Opdivo* występujących bardzo często w monoterapii niwolumabem należą m.in.: neutropenia, biegunka, nudności, wysypka, świąd, uczucie zmęczenia, zwiększenie aktywności AspAT, zwiększenie aktywności AlAT, i inne.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Istnieje duże prawdopodobieństwo, że korzyści zdrowotne przeważają nad ryzykiem stosowania leku.

Konkurencyjność cenowa

Brak jest komparatora dla niwolumabu w ocenianej sytuacji klinicznej. Produkt leczniczy *Opdivo* jest refundowany w 5 programach lekowych: B.6. Leczenie niedrobnokomórkowego raka płuca (ICD-10 C34), B.10. Leczenie raka nerki (ICD-10 C64), B.52. Leczenie płaskonabłonkowego raka narządów głowy i szyi, B.59. Leczenie czerniaka skóry lub błon śluzowych (ICD-10 C43), B.100. Leczenie odpornej i nawrotowej postaci klasycznego chłoniaka Hodgkina z zastosowaniem niwolumabu (ICD-10 C81). Cena hurtowa brutto (CHB) leku *Opdivo* wynosi odpowiednio: *Opdivo* (niwolumab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 10 mg/ml, 1 fiolka po 10 ml – 6708,30 zł, *Opdivo* (niwolumab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 10 mg/ml, 1 fiolka po 4 ml – 2683,32 zł.

Koszt 3-miesięcznej terapii wnioskowanym lekiem jest wysoki.

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

Zdaniem eksperta, przewidywana liczebność populacji docelowej będzie wynosiła „ok. 400-500 osób rocznie”. Przy takim założeniu wydatki płatnika publicznego na terapię lekiem Opdivo będą bardzo wysokie.

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

Brak jest komparatora dla niwolumabu w ocenianej sytuacji klinicznej, ale 2 wytyczne amerykańskich towarzystw (NCCN z 2019 r. i SITC z 2019 r.) poza niwolumabem wymieniają także pembrolizumab, który nie był oceniany przez Agencję w omawianym wskazaniu.

Uwagi Rady:

Rada nie posiada szczegółowych informacji dot. stanu funkcjonalnego chorego, jednak w kryteriach kwalifikacji do programu lekowego, w którym stosowany jest niwolumab, wymagana jest sprawność funkcjonalna w stopniu 0-1 wg klasyfikacji WHO lub ECOG.

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 późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, nr: OT.422.104.2019 „Opdivo (niwolumab) we wskazaniu: przerzuty raka płaskonabłonkowego do węzłów chłonnych szyi z nieznanego ogniska pierwotnego (ICD-10: C77.0), w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych”. Data ukończenia: 19 grudnia 2019 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 419/2019 z dnia 23 grudnia 2019 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Kadcyła (trastuzumabum emtansinum) we wskazaniu: rak piersi z przerzutami do kości i OUN (ICD-10: C50.8) w populacji męskiej

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Kadcyła (trastuzumabum emtansinum), proszek do sporządzania koncentratu roztworu do infuzji, 100 mg, 1 fiol. proszku, EAN: 5902768001044, we wskazaniu: rak piersi z przerzutami do kości i OUN (ICD-10: C50.8) w populacji męskiej.

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Rak piersi (sutka) jest to nowotwór złośliwy wywodzący się z nabłonka przewodów lub zrazików gruczołu sutkowego. W 2013 r. zarejestrowano w Polsce 17 286 nowych zachorowań (w tym 144 u mężczyzn) i 5 881 zgony z powodu raka piersi (współczynnik umieralności 15,3/100 000). Omawiany pacjent jest po następującym leczeniu: hormonoterapia paliatywna, trastuzumab + pertuzumab+docetaksel, lapatynib + kapecytabina oraz resekcja przerzutów w ośrodkowym układzie nerwowym (OUN - mózdzek).

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Trastuzumab emtanzyna (T-DM1) jest to konjugat przeciwciała z lekiem cytostatycznym, stosowany w leczeniu HER2 dodatniego raka piersi. T-DM1 stosowany jest w Polsce w ramach programu lekowego „Leczenie chorych na zaawansowanego raka piersi (ICD-10 C50)”. Nie odnaleziono badań dotyczących leczenia raka sutka T-DM1 w populacji męskiej. Brak jest wyników dla subpopulacji męskiej, która stanowiła 0,7% (3 chorych) włączonych do jedyne randomizowanego badania klinicznego (RCT) - TH3RESA, którzy otrzymywali T-DM1. Dodatkowo, brak jest wyników dla subpopulacji z przerzutami do kości oraz OUN. Badanie RCT TH3RESA dotyczyło chorych po przebytych leczeniu trastuzumabem, lapatynibem i taksanem. Populacja uwzględniona w badaniu TH3RESA jest najbardziej zbliżona do populacji ze zlecenia Ministerstwa Zdrowia (poza tym, że większość stanowiły kobiety).



Mediana całkowitego przeżycia w grupie T-DM1 wyniosła 22,7 miesięcy i była dłuższa od obserwowanej w grupie kontrolnej (TPC - terapia z wyboru lekarza) (15,8 miesięcy). Roczne przeżycie całkowite, na etapie oceny śródkresowej, wyniosło 68,6% w grupie T-DM1 i 56,9% w grupie TPC. Ostateczna analiza wykazała zmniejszenie ryzyka zgonu u chorych leczonych T-DM1 o 32% w porównaniu do grupy kontrolnej; HR = 0,68 (95% CI: 0,54; 0,85); p = 0,0007.

Analiza populacji ITT wykazała istotne wydłużenie czasu przeżycia bez progresji wśród pacjentów otrzymujących T-DM1, w porównaniu z chorymi z grupy TPC; HR = 0,53 (95% CI: 0,42; 0,66); p < 0,0001, co jest wynikiem klinicznie istotnym.

Bezpieczeństwo stosowania

Powikłaniem leczenia mogą być m.in.: reakcje związane z wlewem i nadwrażliwość na lek, małopłytkowość, powikłania krwotoczne, hepatotoksyczność, neurotoksyczność, zaburzenia czynności lewej komory i śródmiąższowe zapalenie płuc.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Korzyści zdrowotne przeważają nad działaniami niepożądanymi.

Konkurencyjność cenowa

Nie zidentyfikowano alternatywnej technologii lekowej dla produktu leczniczego Kadcyła.

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

Koszty 3-miesięcznej i rocznej terapii lekiem Kadcyła dla jednego pacjenta jest wysoki. Przy założeniu liczebności populacji docelowej wynoszącej 5 osób oraz danych kosztowych i liczby cykli terapii zgodnej ze zleceniem (4 cykle-3 miesięce terapii), 3-miesięczne i roczne wydatki płatnika publicznego będą co najwyżej umiarkowane.

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

Biorąc pod uwagę, że zlecenie MZ dotyczy ratunkowego dostępu do technologii lekowej, założono, że zostały już wyczerpane wszystkie możliwe do zastosowania dostępne 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 późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, nr: OT.422.110.2019 „Kadcyła (trastuzumab emtanzyna) we wskazaniu: rak piersi z przerzutami do kości i OUN (ICD-10: C50.8) w populacji męskiej”. Data ukończenia: 19.12.2019.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 420/2019 z dnia 23 grudnia 2019 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych,
w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku
Zelboraf (wemurafenib) we wskazaniu: białaczka
włochatokomórkowa (ICD-10: C91.4)

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Zelboraf (wemurafenib), tabletki powlekane a 240 mg, we wskazaniu: białaczka włochatokomórkowa (ICD-10: C91.4).

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Białaczka włochatokomórkowa (HCL) jest nowotworem z dojrzałych, małych limfocytów B z charakterystycznymi wypustkami cytoplazmatycznymi (tzw. komórek włochatych), występujących we krwi, szpiku kostnym i śledzionie. HCL stanowi 2-3% wszystkich białaczek u dorosłych. Mediana wieku w chwili rozpoznania wynosi 50-55 lat.

Zgodnie z dodatkowymi uwagami dot. zlecenia Ministerstwa Zdrowia wnioskowana terapia dotyczy leczenia pacjenta z białaczką włochatokomórkową (CD19+, CD23+, CD5+, CD5//CD19-, CD20+, CD10+, CD79b+), u którego dotychczasowe leczenie obejmowało: 2× kladrybinę, 4×rytuxymab + kladrybinę.

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Odnaleziono dwie publikacje dot. stosowania wemurafenibu we wnioskowanym wskazaniu. W publikacji Tiacci 2015 opisywano 2 jednoramienne badania II fazy, dotyczące oceny skuteczności i bezpieczeństwa wemurafenibu w leczeniu białaczki włochatokomórkowej. Obiektywny wskaźnik odpowiedzi (ang. objective response rate-ORR) uzyskało w nich 96% pacjentów, w tym odpowiedź całkowitą (CR) 35%, a częściową (PR) 62%. W publikacji Dietrich 2016 przedstawiono wyniki badania retrospektywnego, do którego włączono pacjentów z HCL leczonych wemurafenibem - 100% z nich uzyskało ORR, w tym CR 42% i PR 58%.

W badaniu włoskim, w okresie obserwacji trwającym 23 miesiące, mediana czasu przeżycia bez nawrotów wyniosła 9 miesięcy. Przeżycie wolne od nawrotów było



znacznie dłuższe wśród pacjentów, u których uzyskano CR, niż u pacjentów, u których uzyskano PR (19 miesięcy vs. 6 miesięcy).

W badaniu amerykańskim po 1 roku wskaźnik PFS (przeżycie wolne od progresji choroby - ang. progression-free survival) wyniósł 73%, a wskaźnik OS (przeżycie całkowite - ang. overall survival) wyniósł 91%. Postęp choroby wystąpił u 7 z 24 pacjentów (29%), w tym u 3 pacjentów, u których wystąpiła CR i u 4, u których wystąpiła PR. Po 1 roku od odpowiedzi skumulowana częstość nawrotów wyniosła 27%.

Bezpieczeństwo stosowania

W cytowanych powyżej badaniach odnotowane zdarzenia niepożądane, związane z leczeniem wemurafenibem, miały łagodny przebieg (głównie stopień 1 lub 2). Profil działań ubocznych wemurafenibu w leczeniu białaczki włochatokomórkowej obejmował: bóle stawów i niewielki, odwracalny wzrost poziomu enzymów wątrobowych. W pojedynczych przypadkach opisano uszkodzenie nerek, wystąpienie nowotworów skóry.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Wskazanie, którego dotyczy wniosek nie zawiera się we wskazaniu rejestracyjnym produktu leczniczego Zelboraf. Tym samym dla niniejszego wskazania EMA nie przeprowadziła oceny relacji korzyści do ryzyka.

Ekspert (Konsultant Wojewódzka w dziedzinie hematologii) w swojej opinii podkreśla, że „ryzyko zastosowania wemurafenib wiąże się z możliwością wystąpienia działań niepożądanych opisanych w ChPL, jednak dawki stosowane w leczeniu białaczki włochatokomórkowej są niższe niż w leczeniu czerniaka i w związku z tym ryzyko wystąpienia ciężkich powikłań będzie mniejsze”.

Konkurencyjność cenowa

Zgodnie ze złożonym wnioskiem koszt trzech miesięcy terapii lekiem Zelboraf jest wysoki. Na podstawie przeglądu wytycznych klinicznych stwierdzono, że potencjalnym komparatorem jest lek Lumoxiti (moxetumomab pasudotox). Lek nie jest jednak zarejestrowany w Europie.

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

Na podstawie opinii eksperta klinicznego oszacowano docelową populację leczonych chorych na 10 osób rocznie. Szacowane koszty 3 mies. terapii tej grupy chorych dla płatnika publicznego nie będą wysokie.

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

W I linii najskuteczniejsza jest monoterapia kladrybiną, którą u wnioskowanego chorego już zastosowano. Przy oporności na to leczenie stosuje się rytuksymab w połączeniu z analogiem puryn (kladrybina, fludarabina, cyklofosfamid).

Leczenie to obarczone jest dużym ryzykiem wystąpienia powikłań – głównie agranulocytozą i małopłytkowością i nie zawsze jest możliwe do zastosowania. W przypadku oporności na leczenie kladrybiną i rytuksymabem (jak we wniosku) zaleca się m.in. wemurafenib, jeżeli jest dostępny.

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 późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, nr: OT.422.109.2019 „Zelboraf (wemurafenib) we wskazaniu białaczka włochatokomórkowa (ICD-10: C91.4)”. Data ukończenia: 18 grudnia 2019 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 421/2019 z dnia 23 grudnia 2019 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych,
w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku
Darzalex (daratumumab) we wskazaniu: białaczka
plazmatycznokomórkowa (ICD-10: C90.1)

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leków:

- *Darzalex (daratumumab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, fiołka á 20 mg/ml, (5 ml),*
- *Darzalex (daratumumab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, fiołka á 20 mg/ml, (20 ml),*

we wskazaniu: białaczka plazmatycznokomórkowa (ICD-10: C90.1).

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Białaczka plazmatycznokomórkowa (ang. plasma cell leukemia, PCL) (ICD-10 C90.1) to rzadka i agresywna białaczka i dyskrazja plazmocytów. Wyróżnia się białaczkę plazmatycznokomórkową pierwotną i wtórną, która występuje jako schyłkowe stadium szpiczaka mnogiego. Szacuje się, że rozpowszechnienie PCL w Europie wynosi 4/10 000 000 osób na rok i dotyczy 0,5% pacjentów ze szpiczakiem mnogim. Zgodnie z dodatkowymi informacjami ujętymi w zleceniu lek Darzalex miałby być stosowany w monoterapii, a wcześniejsze leczenie obejmowało:

- *VTD – bortezomib, talidomid, deksametazon,*
- *Rd – lenalidomid, deksametazon,*
- *VCD – bortezomib, cyklofosfamid, deksametazon,*
- *Imnovid-dex – pomalidomid, deksametazon.*

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Leczenie PCL klasyczną chemioterapią wiąże się z niską skutecznością, natomiast stosowanie nowych terapii (bortezomibu, talidomidu i lenalidomidu) i przeszczepu autologicznego wpłynęło na poprawę rokowania (choć pozostaje ono złe - mediana czasu przeżycia wynosi ok. 1 roku od rozpoznania).



Daratumumab jest ludzkim przeciwciałem monoklonalnym IgG1k, które łączy się z białkiem CD38 prezentowanym w dużej ilości na powierzchni komórek nowotworowych szpiczaka mnogiego, a także na innych rodzajach komórek i tkanek w różnych poziomach. Białko CD38 ma wiele funkcji, takich jak: receptor pośredniczący w adhezji komórek, przenoszenie sygnałów i aktywność enzymatyczna. Daratumumab może indukować lizę komórek nowotworowych za pomocą cytotoksyczności zależnej od układu dopełniacza, cytotoksyczności komórkowej zależnej od przeciwciał i fagocytozy komórek zależnej od przeciwciał w nowotworach z ekspresją CD38.

Nie odnaleziono doniesień klinicznych dotyczących efektywności klinicznej stosowania daratumumabu w monoterapii w analizowanym wskazaniu. W literaturze jest jedynie opis przypadku Ngu 2019, niespełniający kryteriów włączenia do analizy w zakresie interwencji, w którym przedstawiono wyniki leczenia pacjentki z pierwotną białaczką plazmatycznokomórkową, u której zastosowano daratumumab w chemioterapii złożonej z bortezomibem i cyklofosfamidem. W badaniu zareportowano wystąpienie odpowiedzi na leczenie. Pacjentka pozostawała w dobrym stanie przez 6-miesięczny okres obserwacji.

Bezpieczeństwo stosowania

Do działań niepożądanych zgłaszanych najczęściej ($\geq 20\%$) należały: reakcje związane z infuzją, zmęczenie, nudności, biegunka, skurcze mięśni, gorączka, kaszel, neutropenia, trombocytopenia, niedokrwistość, czuciowa neuropatia obwodowa i zakażenie górnych dróg oddechowych. Ciężkimi działaniami niepożądanymi były: zapalenie płuc, zakażenie górnych dróg oddechowych, obrzęk płuc, grypa, gorączka, biegunka i migotanie przedsionków.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Wskazania rejestracyjne dla leku Darzalex stosowanego w monoterapii obejmują leczenie dorosłych pacjentów z nawrotowym i opornym na leczenie szpiczakiem mnogim, których wcześniejsze leczenie obejmowało inhibitor proteasomu i lek immunomodulujący i u których nastąpiła progresja choroby w trakcie ostatniego leczenia w skojarzeniu. Stosunek korzyści do ryzyka stosowania daratumumabu w monoterapii z nawrotowym i opornym na leczenie szpiczakiem mnogim uznano za pozytywny biorąc pod uwagę korzystne wyniki oceny efektywności klinicznej oraz akceptowalny i możliwy do kontrolowania profil bezpieczeństwa.

Ocena relacji korzyści do ryzyka przeprowadzona przez EMA we wskazaniach rejestracyjnych częściowo znajduje zastosowanie w rozpatrywanym wskazaniu, ze względu na fakt, iż wtórna białaczka plazmatycznokomórkowa występuje w przebiegu zaawansowanego szpiczaka plazmacytowego.

Konkurencyjność cenowa

Koszt 3-miesięcznej (12 tyg.) i rocznej daratumumabem dla 1 pacjenta przy zakładanym dawkowaniu jest wysoki.

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

Produkt Darzalex (daratumumab) jest aktualnie refundowany w ramach programu lekowego B.54. „Leczenie chorych na opornego lub nawrotowego szpiczaka plazmocytoowego (ICD10 C90.0).

Zgodnie z bazą danych w 2018 r. całkowita liczba chorych z rozpoznaniem C90.1 wyniosła 257 pacjentów. Korzystając z powyższych danych przeprowadzono oszacowania wydatków płatnika w wariacie maksymalnym, w którym założono, iż wszyscy raportowani pacjenci mogą kwalifikować się do terapii daratumumabem. Przy założeniu, że pacjenci z populacji docelowej będą leczeni przez 12 miesięcy, roczny koszt terapii daratumumabem dla płatnika publicznego będzie bardzo wysoki.

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

W polskich wytycznych dotyczących leczenia szpiczaka mnogiego nie przedstawiono szczególnych zaleceń dotyczących terapii pacjentów z białaczką plazmatycznokomórkową. Wytyczne ESMO 2017 wymieniają możliwość stosowania terapii skojarzonej z przeciwciałami monoklonalnymi, do których należy daratumumab w terapii białaczki plazmatycznokomórkowej, występującej w przebiegu szpiczaka mnogiego. Jako pozostałe terapie lekowe rekomendacje wskazują: inhibitory proteasomu, do których należy: bortezomib, karfilzomib i iksazomib oraz leki immunomodulujące lenalidomid, talidomid, pomalidomid.

Europejskie wytyczne, dotyczące leczenia pacjentów z pierwotną białaczką plazmatycznokomórkową w kolejnych liniach leczenia, wskazują na możliwość stosowania przeciwciał monoklonalnych, w tym daratumumabu oraz elotuzumabu w terapiach skojarzonych. Preferowane terapie obejmują terapię skojarzoną lenalidomidem lub bortezomibem, a z nowych terapii, oprócz przeciwciał monoklonalnych, wymieniane są terapie skojarzone z pomalidomidem lub karfilzomibem. Wytyczne te oparte są na konsensusie ekspertów.

Nie odnaleziono wytycznych odnoszących się do stosowania innych opcji terapeutycznych w monoterapii u pacjentów z białaczką plazmatycznokomórkową. Biorąc pod uwagę fakt, iż u pacjenta wykorzystano już część potencjalnych komparatorów wymienianych w wytycznych klinicznych tj. terapie skojarzone z: bortezomibem, lenalidomidem i pomalidomidem, jako

komparator dla daratumumabu w monoterapii przyjęto brak aktywnego leczenia (przy równoczesnym stosowaniu najlepszej terapii wspomagającej, BSC).

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt. 4 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 1373 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, nr: OT.422.106.2019 „Darzalex (daratumumab) we wskazaniu: białaczka plazmatycznokomórkowa (ICD-10: C90.1)”. Data ukończenia: 18 grudnia 2019 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 422/2019 z dnia 23 grudnia 2019 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Lynparza (olaparyb) we wskazaniu: zaawansowany rak jajnika o niskim stopniu zróżnicowania (ICD-10: C56)

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Lynparza (olaparyb), tabletki powlekane, 150 mg, we wskazaniu: zaawansowany rak jajnika o niskim stopniu zróżnicowania (ICD-10: C56).

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Rak jajnika jest piątą najczęstszą przyczyną zgonów oraz piątym najczęściej diagnozowanym rakiem (44150 nowych przypadków) u kobiet w UE i jednocześnie najgorzej rokującym nowotworem ginekologicznym, o najniższej przeżywalności.

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Wnioskowane wskazanie mieści się we wskazaniu rejestracyjnym leku Lynparza wymienionym w Charakterystyce Produktu Leczniczego. Wyniki randomizowanej próby klinicznej wskazują na istotne wydłużenie czasu przeżycia wolnego od progresji choroby (PFS) pod wpływem olaparybu. Wskazanie, którego dotyczy zlecenie, nie jest w pełni zgodne z kryteriami włączenia do programu lekowego, jednak różnica polegająca na przyjęciu przez pacjentkę odmiennej liczby cykli schematu z zastosowaniem platyny nie jest, zdaniem Rady, dostateczną przyczyną dla odmowy zastosowania leku, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych. Jednocześnie Rada zwraca uwagę na niepełną wiedzę dotyczącą przebiegu choroby.

Bezpieczeństwo stosowania

We wspomnianym wyżej randomizowanym badaniu klinicznym poważne działania niepożądane (najczęściej niedokrwistość) występowały u około jednej piątej chorych. Nie raportowano zdarzeń niepożądanych prowadzących do zgonu.



Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania została oceniona na etapie rejestracji przez Europejską Agencję Leków. Ponieważ lek zarejestrowano m.in. w wyżej wymienionym, wnioskowanym wskazaniu, można uznać, że relacja ta jest pozytywna.

Konkurencyjność cenowa

Koszty leczenia preparatem Lynparza są wysokie, biorąc pod uwagę horyzont czasowy stosowania leku.

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

Hipotetyczne wydatki płatnika publicznego związane z finansowaniem świadczeń u chorych o zbliżonej charakterystyce klinicznej są wysokie. Szacunki obarczone są jednak dużym marginesem niepewności.

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

W wytycznych (NCCN 2019) wskazuje się, iż u pacjentów, którzy uzyskali całkowitą odpowiedź kliniczną, można zaproponować udział w badaniu klinicznym, obserwację lub zastosować olaparyb. Należy zatem uznać, że brak jest w chwili obecnej dostępnej, poza kontekstem ewentualnego badania klinicznego, alternatywnej technologii medycznej.

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 późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, nr: OT.422.105.2019 „Lynparza (olaparyb) we wskazaniu: zaawansowany rak jajnika o niskim stopniu zróżnicowania (ICD-10: C56)”. Data ukończenia: 18 grudnia 2019 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 423/2019 z dnia 23 grudnia 2019 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Kiovig (immunoglobulinum humanum) we wskazaniu: zespół Guillaine-Barré (ICD-10: G61.0)

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Kiovig (immunoglobulinum humanum), roztwór do infuzji, fiolka 30 g/300 ml, we wskazaniu: zespół Guillaine-Barré (ICD-10: G61.0).

Uzasadnienie

Zgodnie z informacją zawartą w zleceniu pacjent miał 83 lata i nie stosowano u niego dotychczas innych form terapii zespołu Guillaine-Barré.

Kiovig jest aktualnie finansowany we wskazaniu G61.0 zespół Guillaine-Barré w ramach programu B.67 „Leczenie przetoczeniami immunoglobulin w chorobach neurologicznych”. W zleceniu nie wskazano, że pacjent nie kwalifikuje się do udziału w programie lekowym.

Podanie immunoglobuliny może być realizowane także w ramach świadczenia 5.53.01.0001401 „Leczenie przetoczeniami immunoglobulin” (katalog produktów do sumowania) lub świadczenia 5.52.01.0001464 „Hospitalizacja związana z przetoczeniem krwi, produktów krwiopochodnych w tym immunoglobulin” (katalog produktów odrębnych). Wartość punktowa tych świadczeń wynosi odpowiednio 195 i 270.

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 późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, nr: OT.422.107.2019 „Kiovig (immunoglobulinum humanum) we wskazaniu: zespół Guillain-Barré (ICD-10: G61.0)”. Data ukończenia: 18 grudnia 2019 r.





Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości nr 424/2019 z dnia 23 grudnia 2019 roku o projekcie programu „Program profilaktyki chorób układu krążenia w gminie Aleksandrów Łódzki”

Rada Przejrzystości opiniuje negatywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki chorób układu krążenia w gminie Aleksandrów Łódzki”.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest projekt PPZ zaplanowany do realizacji przez gminę Aleksandrów Łódzki w zakresie wczesnego wykrywania chorób układu krążenia. zakładający przeprowadzenie konsultacji kardiologicznej i szeregu badań diagnostycznych.

Populacją docelową mają być mieszkańcy gminy, w wieku od 30 do 80 lat. Program ma być realizowany w latach 2020-2024. Koszt całkowity oszacowano na 945 000 zł.

W treści projektu przedstawiono szczegółowe ogólnopolskie, regionalne i lokalne dane epidemiologiczne, korespondujące z wybranym problemem zdrowotnym. Określono m.in., że w powiecie zgierskim, w którym znajduje się gmina Aleksandrów Łódzki w 2016 r. główną przyczyną zgonów były choroby układu krążenia, które spowodowały 41% wszystkich przyczyn zgonów (767 osób).

W ramach programu zaplanowano przeprowadzenie następujących interwencji: 1) wizyta w gabinecie lekarza POZ i m.in.: przeprowadzenie wywiadu, wypełnienie ankiety dot. czynników ryzyka, pomiary ciśnienia tętniczego, pomiary antropometryczne, określenie BMI, wykonanie badań laboratoryjnych (cholesterol całkowity, HDL, LDL, trójglicerydy, poziom glukozy na czczo, poziom kreatyniny u pacjentów po 60 r.ż., białko C-reaktywne), wykonanie EKG, 2) konsultacja kardiologiczna: analiza wyników przeprowadzonych badań oraz, w razie potrzeby, echo serca, Holter EKG, Holter RR, próba wysiłkowa wraz z opisem, 3) działania edukacyjne: rozmowy przeprowadzane raz w miesiącu przez lekarza diabetologa, pielęgniarkę lub inną osobę zajmującą się promocją zdrowia i edukacją zdrowotną. Wykonywane będzie również badanie HbA1c. W trakcie konsultacji jeżeli zajdzie potrzeba, pacjent będzie miał wykonane



także dodatkowe badania, jednak wnioskodawca nie zapewnił finansowania dla nich w budżecie programu.

Warto zaznaczyć, że zgodnie z Obwieszczeniem Ministra Zdrowia z dn. 25 stycznia 2016 w sprawie ogłoszenia jednolitego tekstu rozporządzenia Ministra Zdrowia w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej (Dz.U. 2016 poz. 357 z późn. zm.), w ramach porady specjalistycznej kardiologicznej dostępna jest m.in. echokardiografia. Ponadto, zgodnie z Obwieszczeniem Ministra Zdrowia z dnia 21 marca 2019 r. w sprawie ogłoszenia jednolitego tekstu rozporządzenia Ministra Zdrowia w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu podstawowej opieki zdrowotnej (Dz.U. 2019 poz.736) świadczenia gwarantowane udzielane przez lekarza podstawowej opieki zdrowotnej obejmują świadczenia w ramach profilaktyki chorób układu krążenia, w tym m.in.: przeprowadzenie wywiadu i wypełnienie karty badania profilaktycznego, wykonanie badań biochemicznych krwi, pomiar ciśnienia tętniczego krwi, określenie współczynników masy ciała, badanie przedmiotowe pacjenta, ocena czynników ryzyka na choroby układu oraz kwalifikacja pacjenta do odpowiedniej grupy ryzyka, edukacja zdrowotna pacjenta oraz podjęcie decyzji co do dalszego leczenia, a także gdy to konieczne – kierowanie pacjenta na dalszą diagnostykę/leczenie. Obecnie w Polsce realizowane są 2 programy z zakresu profilaktyki chorób sercowo-naczyniowych: Program Profilaktyki Chorób Układu Krążenia (ChUK) oraz Program Profilaktyki i Leczenia Chorób Układu Sercowo-Naczyniowego (POLKARD), które zawierają podobne interwencje do proponowanego programu lokalnego.

Większość celów szczegółowych w programie została sformułowana nieprawidłowo. Nie jest jasne jaka liczba osób ma zostać do niego włączona. Prowadzenie oceny ryzyka sercowo-naczyniowego u osób poniżej 40 r.ż. nie znajduje odzwierciedlenia w rekomendacjach. Nie określono kryteriów wykluczenia z programu. Wnioskodawca opisał w sposób zdawkowy etapy i działania podejmowane w ramach programu. W sposób ogólny odniesiono się również do warunków realizacji programu dotyczących personelu, wyposażenia i warunków lokalowych. W programie nie przedstawiono kosztów działań zaplanowanych do zrealizowania w POZ i tym samym nie jest jasne w jaki sposób zaplanowano połączenie programu ze świadczeniami, które mają być udzielone w ramach POZ. Nie opisano także w sposób jednoznaczny sposobu zakończenia udziału w programie, w tym, w szczególności, nie została jasno opisana dalsza ścieżka opieki nad pacjentem, po odbyciu wizyty lekarskiej.

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 późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr: OT.441.180.2019 „Program profilaktyki chorób układu krążenia w gminie Aleksandrów Łódzki” realizowany przez: Gminę Aleksandrów Łódzki, Warszawa, grudzień 2019 oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy z zakresu profilaktyki chorób sercowo-naczyniowych – wspólne podstawy oceny”, luty 2013 r. i Raportu oceny o nr OT.440.8.2017 dot. programu polityki zdrowotnej pn. „Ogólnopolski program profilaktyki w zakresie miażdżycy tętnic i chorób serca poprzez edukację osób z podwyższonymi czynnikami ryzyka sercowo-naczyniowego (KORDIAN)”.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości nr 425/2019 z dnia 23 grudnia 2019 roku o projekcie programu „Rehabilitacja lecznicza mieszkańców gminy Kunice”

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Rehabilitacja lecznicza mieszkańców gminy Kunice”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest projekt programu polityki zdrowotnej, zaplanowany do realizacji przez gminę Kunice w zakresie rehabilitacji leczniczej, zakładający przeprowadzenie cyklu rehabilitacyjnego dla mieszkańców gminy, którzy posiadają skierowanie od lekarza POZ lub lekarza specjalisty. Okres realizacji zaplanowano na lata 2020-2023.

Populację docelową programu stanowią mieszkańcy gminy Kunice, którzy uzyskają skierowanie od lekarza POZ lub lekarza specjalisty. Zgodnie z treścią projektu, populacja, która może zostać objęta programem wynosi 5 229 osób. Wnioskodawca szacuje udział na „około 10-15% mieszkańców gminy rocznie”.

Wnioskodawca wskazał, że „do udziału w programie może być zakwalifikowany pacjent, który jest pacjentem Ośrodka Zdrowia w Kunicach, zgłosił się z odpowiednim skierowaniem. Decyzję o udziale w programie pacjenta podejmuje podmiot medyczny realizujący program”. W innym miejscu projektu wskazano z kolei, że „świadczeniobiorca, który uzyskał skierowanie od lekarza specjalisty spoza Ośrodka jest zobowiązany do uzyskania akceptacji udziału w programie lekarza zatrudnionego w Ośrodku Zdrowia w Kunicach”. Powyższe podejście może być przyczyną nierówności w dostępie do programu dla osób, które nie są pacjentami Ośrodka Zdrowia w Kunicach.

Głównym założeniem projektu programu jest „poprawa i podtrzymywanie 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, poprawa operatywności ośrodkowego/obwodowego układu nerwowego”. Oceniany projekt programu



wpisuje się w priorytet: „rehabilitacja”, należący do priorytetów zdrowotnych wymienionych w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dn. 27 lutego 2018 r. (Dz.U. z 2018 r., poz. 469). Należy jednak zauważyć, że główne założenie programu zostało sformułowane w sposób nieprawidłowy, gdyż składa się w istocie z kilku odrębnych celów. Nie zaplanowano przeprowadzenia kompleksowej ewaluacji programu, zatem ocena wpływu podjętych działań na wymienione przez wnioskodawcę kwestie będzie niemożliwa.

W ramach programu zaplanowano szereg zabiegów fizykoterapeutycznych (elektroterapia: jonoforeza, galwanizacja, elektrostymulacja, prądy diadynamiczne, prądy interferencyjne, TENS, prądy Traberta; magnetoterapia; laseroterapia; światłolecznictwo; ultrasonoterapia), ćwiczenia czynne w odciążeniu oraz masaże wirowe kończyn. W programie nie zaplanowano żadnego komponentu edukacyjnego. 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. Zgodnie z informacjami odnalezionymi przez analityka, w gminie Kunice nie funkcjonuje żaden świadczeniodawca udzielający świadczeń z zakresu rehabilitacji leczniczej w ramach NFZ. Całkowity koszt realizacji ma wynieść 480 000 zł.

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 późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr: OT.441.185.2019 „Rehabilitacja lecznicza mieszkańców Gminy Kunice” realizowany przez: Gminę Kunice, Warszawa, grudzień 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 426/2019 z dnia 23 grudnia 2019 roku o projekcie programu „Szczepienia przeciw meningokokom dla dzieci z Gminy Pyskowice na lata 2019-2022”

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Szczepienia przeciw meningokokom dla dzieci z Gminy Pyskowice na lata 2019-2022”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

Przedmiotem opinii jest projekt programu polityki zdrowotnej z zakresu profilaktyki zakażeń meningokokowych. w populacji dzieci w wieku powyżej 3 lat, zamieszkałych na terenie Gminy Pyskowice. Realizację programu zaplanowano na lata 2019-2022. Główne założenie projektu programu zostało sformułowane w następujący sposób: „zwiększenie skuteczności zapobiegania zakażeniom meningokokowym poprzez zaszczepienie szczepionką „Nimenrix” przeciwko Neisseria meningitidis typu A, C, W135, Y jak największej ilości populacji docelowej dzieci urodzonych w 2016-2019 roku”. W ramach realizacji programu zaplanowano wykonanie szczepień ochronnych przeciw Neisseria meningitidis typu A, C, W, Y oraz działania promocyjno-edukacyjne. Szczepienia wykonane zostaną w schemacie jednodawkowym.

Oceniany projekt programu odnosi się do istotnego i dokładnie opisanego w literaturze problemu zdrowotnego, jakim są zakażenia bakteriami meningokokowymi. W treści projektu zaznaczono, że zakażenia wywoływane przez bakterie z gatunku Neisseria meningitidis, przebiegające jako zapalenie opon mózgowych lub zakażenie krwi (posocznica, sepsa) są znaczącą przyczyną uszkodzeń mózgu oraz umieralności na całym świecie. Opiniowany projekt wpisuje się w następujący 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).

Zgodnie z treścią projektu, działania realizowane w ramach programu adresowane są do grupy dzieci w wieku powyżej trzech lat zamieszkałych na terenie Gminy Pyskowice. Wnioskodawca w treści projektu wskazał, że program



skierowany będzie do wszystkich dzieci z roczników urodzeniowych 2016-2019 (włączanie dzieci w kolejnych latach trwania programu z poszczególnych roczników. Można zatem przyjąć, że zaplanowano objęcie szczepieniem 100% populacji docelowej. Wnioskodawca zaznaczył, że zgodnie z danymi ewidencyjnymi będzie to liczba ok. 650 dzieci. Nie jest jednak jasne dlaczego w programie stwierdza się jednocześnie, że „przewidywana minimalna efektywność zgłoszeń to 50% zakładanej populacji”, a w budżecie oszacowano koszty dla 40% populacji docelowej. W projekcie wskazano, że realizator programu wybrany zostanie w drodze konkursu ofert, co jest zgodne z zapisami ustawowymi. Realizator wskazał prawidłowo koszty jednostkowe. Całkowity koszt realizacji planowanych działań oszacowano na ponad 45 tys. zł. Program ma być finansowany w całości z budżetu Gminy Pyskowice.

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 późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr: OT.441.181.2019 „Szczepienia przeciw meningokokom dla dzieci z Gminy Pyskowice na lata 2019-2022” realizowany przez: Gminę Pyskowice, Warszawa, grudzień 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 427/2019 z dnia 23 grudnia 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 pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania nadwagi i otyłości dla dzieci klas III szkół podstawowych z terenu miasta Żory”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

Program dotyczy ważnego i narastającego problemu zdrowia publicznego, jakim jest otyłość u dzieci i wpisuje się w priorytet „przeciwdziałanie występowaniu otyłości”, wymieniony w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dn. 27 II 2018 r.

Agencja opiniowała już podobny projekt programu polityki zdrowotnej miasta Żory. 12 września 2019 r. Prezes Agencji wydał o nim opinię negatywną. W obecnym projekcie większość uwag Prezesa została uwzględniona, choć nadal wymaga korekty.

Celem głównym programu jest zmniejszenie częstości występowania nadmiaru masy ciała (redukcja średnio o 5 centyli BMI, w stosunku do masy wyjściowej) wśród około 55 % wyselekcjonowanej grupy uczniów klas III szkół podstawowych z terenu miasta Żory, poprzez objęcie kompleksową interwencją edukacyjno-zdrowotną w latach 2020-2024.

Populację stanowić będą dzieci z rocznika 2010 (w kolejnych latach odpowiednio z roczników 2011-2014) tj. uczniowie klas III szkół podstawowych z terenu Miasta Żory. Czas realizacji programu zaplanowano na lata 2020-2024.

W ramach programu zaplanowano przeprowadzenie badań przesiewowych z określeniem wskaźnika BMI, zajęć edukacyjnych (dla dzieci i rodziców) na temat racjonalnego odżywiania, konsultacji: lekarskich, dietetycznych, psychologicznych oraz ze specjalistą aktywności fizycznej. Zgodnie z odnalezionymi wytycznymi, BMI uznane zostało za stosunkowo dobry oraz prosty test diagnostyczny w kierunku wykrywania dziecięcej otyłości oraz otluszczenia. Po określeniu poziomu BMI i stwierdzeniu wyniku powyżej ≥ 90 centyli wszystkie dzieci zakwalifikowane do interdyscyplinarnej interwencji



specjalistycznej zostaną skierowane do wykonania badań krwi, w niezbędnym zakresie do oceny możliwych chorobowych przyczyn skutków otyłości. Planowane jest przeprowadzenie badań laboratoryjnych w kierunku najczęstszych chorób metabolicznych wyłącznie u dzieci z wykrytą nadwagą i otyłością. Badania będą wykonywane w ramach finansowania przez NFZ. Poza konsultacją lekarską przewidziano również konsultacje z psychologiem, dietetykiem oraz specjalistą aktywności fizycznej. Końcowym etapem programu będzie kompleksowa wizyta u lekarza oceniająca efekty interwencji oraz wskazująca dalsze kierunki postępowania prozdrowotnego.

Koszty jednostkowe programu i planowane koszty całkowite wymagają dalszej korekty. Źródłem finansowania programu będzie budżet miasta Żory.

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 późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr: OT.441.182.2019 „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania nadwagi i otyłości dla dzieci klas III szkół podstawowych z terenu Miasta Żory” realizowany przez: Miasto Żory, Warszawa, grudzień 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 428/2019 z dnia 23 grudnia 2019 roku
o projekcie programu „Program profilaktycznych szczepień przeciw
pneumokokom dla mieszkańców miasta Płocka w wieku 65 lat
w latach 2020-2022”

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktycznych szczepień przeciw pneumokokom dla mieszkańców miasta Płocka w wieku 65 lat w latach 2020-2022”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

*Zakażenia pneumokokowe wywoływane jest przez dwóinkę zapalenia płuc (*Streptococcus pneumoniae*). Pneumokoki przenoszone są drogą kropelkową lub przez bezpośredni kontakt z osobą zakażoną. Najcięższą postacią zakażenia pneumokokowego jest tzw. inwazyjna choroba pneumokokowa (IChP). W pojęciu tym mieści się zapalenie opon mózgowo-rdzeniowych, sepsa (posocznica) i zapalenie płuc z bakteriami. U osób w wieku >60 lat obserwuje się wzrost częstości objawowych zakażeń pneumokokowych ze względu na występujące choroby towarzyszące, takie jak przewlekłe choroby oskrzelowo-płucne, niewydolność serca, upośledzenie odporności w wyniku choroby podstawowej (przede wszystkim cukrzyca, niedokrwistości i nowotworów) lub stosowanego leczenia. U osób w podeszłym wieku pneumokokowe zapalenie płuc jest najczęstszą przyczyną zgonów z powodu chorób zakaźnych. Zgodnie z badaniem Bonten 2015 szczepienie osób starszych skoniugowaną 13-walentną szczepionką przeciwko pneumokokom zmniejszyło w ciągu 4 lat ryzyko zachorowania na pneumokokowe pozaszpitalne zapalenie płuc oraz IChP wywołane przez typy serologiczne pneumokoka uwzględnione w szczepionce.*

Cel główny programu to zwiększenie o 30% liczby osób zaszczepionych przeciwko pneumokokom. Program będzie realizowany w latach 2020 – 2022. 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, wymienione w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 27 lutego 2018 r.

W ramach programu planowane jest wykonanie szczepień przeciwko pneumokokom, a także prowadzenie działań edukacyjnych. Populację docelową programu będą stanowić osoby w wieku 65 lat (z roczników 1955-1957), zamieszkałe na terenie Miasta Płocka. Założono, że do programu zgłosi się 50% osób uprawnionych, zatem w latach 2020-2022 będzie mogło skorzystać z niego ok. 2 739 osób. Osoby włączone do programu zostaną zaszczepione 13-walentną szczepionką przeciwko pneumokokom (PCV-13). W ChPL produktu wskazano, że w przypadku osób dorosłych w wieku ≥ 18 lat i osób w podeszłym wieku, należy zastosować schemat jednodawkowy. Zgodnie z Programem Szczepień Ochronnych na 2020 r., szczepienia przeciwko pneumokokom wskazuje się jako szczepienia zalecane m.in. w populacji osób dorosłych powyżej 50 r.ż., niezależnie od występowania u nich chorób współistniejących, a także osobom z przewlekłą chorobą płuc.

W programie wskazano koszty jednostkowe oraz koszt całkowity (657 360 zł w latach 2020-2022). Program finansowany będzie z budżetu Miasta Płock.

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 późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr: OT.441.184.2019 „Program profilaktycznych szczepień przeciw pneumokokom dla mieszkańców miasta Płocka w wieku 65 lat w latach 2020-2022” realizowany przez: Miasto Płock, Warszawa, grudzień 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 429/2019 z dnia 23 grudnia 2019 roku

o projekcie programu „Program profilaktyki i wczesnej diagnostyki boreliozy w Gminie Długołęka na lata 2020-2024”

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki i wczesnej diagnostyki boreliozy w Gminie Długołęka na lata 2020-2024”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.

Uzasadnienie

Projekt programu odnosi się do dobrze zdefiniowanego problemu zdrowotnego jakim jest borelioza. Opiniowany projekt realizuje następujący priorytet: „zwiększenie skuteczności zapobiegania chorobom zakaźnym i zakażeniom, w tym przeciwdziałanie skutkom nieprawidłowej antybiotykoterapii”, należący do priorytetów zdrowotnych wymienionych w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 27 lutego 2018 r. (Dz.U. 2018 poz. 469).

W ramach projektu programu zaplanowano przeprowadzenie następujących interwencji:

- działań edukacyjnych skierowanych do ogółu dorosłych mieszkańców (wykłady z zakresu profilaktyki chorób odkleszczowych, ulotki i plakaty),*
- badań serologicznych metodą ELISA (klasy IgG i IgM) – u mieszkańców zakwalifikowanych na podstawie ankiety w zakresie czynników ryzyka.*

Do etapu edukacji zdrowotnej włączone będą osoby, które mają 18 lat i więcej oraz zamieszkują gminę Długołęka. Z kolei do etapu badań diagnostycznych włączeni będą mieszkańcy gminy w wieku 18 lat i więcej, którzy przynależą do grupy podwyższonego ryzyka zachorowania na boreliozę (stwierdzonego w pielęgniarstwie kwalifikacyjnym na podstawie ankiety), nie mają rumienia wędrującego oraz wyrażą zgodę na udział w programie. Kryteriami wyłączenia z etapu diagnostycznego będą: brak wskazań do diagnostyki oraz korzystanie ze świadczeń finansowanych przez NFZ w związku z boreliozą zdiagnozowaną przed rozpoczęciem programu.

Eksperti kliniczni w swoich opiniach zaznaczają, że istotne znaczenie ma podnoszenie świadomości społecznej w zakresie boreliozy i jej potencjalnych czynników ryzyka. Odnalezione dowody naukowe wskazują, że stosowanie działań edukacyjno-promocyjnych ma wpływ na podniesienie poziomu wiedzy



społeczeństwa nt. zagrożenia związanego z ukąszeniem kleszcza (Mowbray 2012).

Wśród działań przewidzianych do realizacji w ramach programu znajdują się badania laboratoryjne metodą ELISA w kierunku wykrywania boreliozy. Wnioskodawca wskazuje, że badania obejmować będą obie klasy przeciwciał (IgG i IgM).

W rekomendacjach/wytycznych z przedmiotowego zakresu wskazuje się, że podstawą wczesnego rozpoznania boreliozy są objawy kliniczne, w tym szczególnie wystąpienie rumienia wędrującego. Obecność samych przeciwciał, bez obecności konkretnych objawów zakażenia nie jest wystarczająca do postawienia diagnozy, a wyniki testów serologicznych mogą być jedynie wsparciem dla postawionej diagnozy z uwzględnieniem potencjalnych objawów klinicznych boreliozy. 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. Na badania serologiczne, przewidziane w programie, powinien kierować lekarz.

W ramach programu wnioskodawca nie zaplanował diagnostyki przy użyciu metody Western blot, jednak wskazał, że w przypadku dodatniego lub wątpliwego wyniku testem ELISA pacjent zostanie skierowany do lekarza POZ celem uzyskania skierowania na dalsze badania metodą Western blot, w ambulatoryjnej opiece specjalistycznej finansowanej przez NFZ.

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 późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr: OT.441.173.2019 „Program profilaktyki i wczesnej diagnostyki boreliozy w Gminie Długosząka na lata 2020-2024” realizowany przez: Gminę Długosząka, Warszawa, grudzień 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 430/2019 z dnia 23 grudnia 2019 roku

o projekcie programu „Program zdrowotny szczepień przeciw meningokokom dla dzieci z Gminy Czemierniki na lata 2020-2021”

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program zdrowotny szczepień przeciw meningokokom dla dzieci z Gminy Czemierniki na lata 2020-2021”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

*Oceniany projekt programu odnosi się do istotnego i dokładnie opisanego w literaturze problemu zdrowotnego, jakim są zakażenia bakteriami meningokokowymi. W treści projektu zaznaczono, że zakażenia wywoływane przez bakterie z gatunku *Neisseria meningitidis*, przebiegające jako zapalenie opon mózgowych lub zakażenie krwi (posocznica, sepsa) są znaczącą przyczyną uszkodzeń mózgu oraz umieralności na całym świecie.*

*W ramach realizacji programu zaplanowano wykonanie szczepień ochronnych przeciw *Neisseria meningitidis* typu ACWY oraz działania promocyjno-edukacyjne. Populacją objęta szczepieniami to dzieci w wieku 4-6 lat. Udział w programie będzie się kończył wraz z podaniem jednej dawki szczepionki u dziecka.*

Istnieją rozbieżności w rekomendacjach/wytycznych dotyczących przeprowadzaniu rutynowych szczepień przeciwko meningokokom w wieku przewidzianym przez wnioskodawcę (4-6 r.ż.). Wytyczne FEMS 2007, MLF 2012, PHAC 2015 rekomendują tego typu interwencje. ACIP 2013, AAP 2014 nie zalecają rutynowego szczepienia dzieci w powyżej 2 roku życia. Ponadto AAP 2014 podkreśla, że rutynowe szczepienia przeciw meningokokom nie są rekomendowane w populacji dzieci zdrowych od 2 m.ż. do 10 r.ż. Polskie Towarzystwo Pediatryczne (2012) zaznacza jednak, że do czasu wprowadzenia szczepień obowiązkowych powinny być wspierane wszelkie akcje prowadzone przez samorządy lokalne i organizacje społeczne (fundacje i stowarzyszenia) z użyciem skoniugowanych szczepionek meningokokowych zabezpieczające



przed zachorowaniami na IChM.

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 późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr: OT.441.174.2019 „Program zdrowotny szczepień przeciw meningokokom dla dzieci z Gminy Czemierniki na lata 2020-2021” realizowany przez: Gminę Czemierniki, Warszawa, grudzień 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 431/2019 z dnia 23 grudnia 2019 roku o projekcie programu „Program szczepień profilaktycznych przeciwko meningokokom w Gminie Buk na lata 2020-2024”

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program szczepień profilaktycznych przeciwko meningokokom w Gminie Buk na lata 2020-2024”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady oraz zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

*Celem głównym Programu Polityki Zdrowotnej (PPZ) jest zmniejszenie ryzyka zachorowań na choroby wywołane przez bakterie meningokokowe typ C. Populacja objęta programem, to dzieci zamieszkałe na terenie Gminy Buk w wieku 2 lat oraz ich opiekunowie/rodzice, do których kierowane są interwencje edukacyjne. Zaplanowane w PPZ interwencje przewidują m.in. szczepienia przeciw *Neisseria meningitidis* grupy C. Okres realizacji programu został wyznaczony na lata 2020-2024.*

W Programie zaplanowano również przeprowadzenie działań promocyjno-informacyjnych, których celem będzie edukacja rodziców w zakresie profilaktyki chorób wywołanych przez bakterie meningokokowe, poprzez zorganizowanie spotkań edukacyjnych.

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). Koszt całkowity projektu, to 115 200 zł, finansowanie będzie realizowane z budżetu Gminy Buk.

Uwagi Rady:

- 1) Wnioskodawca przewidział szczepienia przeciwko meningokokom z grupy C, pomimo, że to meningokoki z grupy B są odpowiedzialne są za ponad 60% zachorowań a szczepionka jest dostępna na rynku;*
- 2) Wnioskodawca nie zaplanował przygotowania protokołu edukacyjnego (przewodnika), na podstawie którego realizowana będzie edukacja. Nie ma więc pewności co do spójności przekazywanych treści przez wszystkie strony*



uczestniczące w szkoleniach. Skuteczna edukacja powinna być wdrażana przez pracownika zdrowia przeszkolonego z zakresu motywowania do zmiany zachowań, wzmacniania pozytywnych postaw z wykorzystaniem różnorodnych technik i narzędzi (techniki coachingu zdrowotnego, które zwiększają efektywność edukacji, to m.in.: kontakt bezpośredni, sms, telefony). Liczba interwencji winna być zgodna z indywidualnymi potrzebami, a działania prowadzone co najmniej przez jeden miesiąc.

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 późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr: OT.441.175.2019 „Program szczepień profilaktycznych przeciwko meningokokom w Gminie Buk na lata 2020-2024” realizowany przez: Gminę Buk, Warszawa, grudzień 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 432/2019 z dnia 23 grudnia 2019 roku o projekcie programu „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania osteoporozy w gminie Buk”

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania osteoporozy w gminie Buk”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady oraz zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest projekt programu polityki zdrowotnej zaplanowany do realizacji przez gminę Buk w zakresie profilaktyki i wczesnego wykrywania osteoporozy, zakładający przeprowadzenie oceny czynników ryzyka, badania metodą FRAX oraz badania densytometrycznego wśród kobiet po 65 r.ż. i mężczyzn w wieku powyżej 75 lat zamieszkujących gminę Buk. Program ma być realizowany w latach 2020-2024. Problematyka osteoporozy nie wpisuje się w priorytety zdrowotne wymienione w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 27 lutego 2018 r. w sprawie priorytetów zdrowotnych (Dz.U. z 2018 r., poz. 469).

W ramach programu zaplanowano interwencje edukacyjne dla uczestników i personelu medycznego, oszacowanie, metodą FRAX, 10-letniego ryzyka złamania kości, a także przeprowadzenie badania densytometrycznego (wśród osób z wysokim ryzykiem złamań). Zaproponowany cel główny PPZ, to „Wczesne wykrycie i zmniejszenie zachorowalności w zakresie osteoporozy wśród kobiet po 65 i mężczyzn po 75 roku życia, zamieszkujących gminę Buk, poprzez działania zaplanowane do realizacji w programie w latach 2020-2024” Projekt zawiera dwa cele szczegółowe. Określono także cztery mierniki efektywności.

Projekt programu zakłada przeprowadzenie jego monitorowania i ewaluacji.

Finansowanie programu przewidziano ze środków gminy Buk i NFZ. Koszt całkowity dla całego okresu trwania programu został oszacowany na 50 tys. zł. Gmina będzie ubiegać się o dofinansowanie części działań realizowanych w programie.

Uwagi Rady:

Wnioskodawca w treści projektu winien wskazać interwencje, które są skuteczne w zapobieganiu upadkom. Konieczne jest ocenianie ryzyka upadków, edukacja w zakresie ćwiczeń. Interdyscyplinarny zespół profesjonalistów powinien



przekazać informacje na temat diety, stylu życia i wyboru leczenia. W działaniach należy uwzględnić m.in. informacje dotyczące: modyfikacji środowiska zamieszkania, ograniczeń w poruszaniu się, bezpiecznej mobilności, metod oceny i zarządzania ryzykiem upadków, strategii postępowania w przypadku trudności z wstawaniem, celów leczenia (zaleca się systematyczny przegląd stosowanych leków), pierwszej pomocy w przypadku upadku. Działania edukacyjne powinny być prowadzone przez wyspecjalizowany zespół.

Mierniki efektywności mogą dotyczyć np. zmniejszenia o 10% liczby upadków u osób z ryzykiem upadków oraz powikłań związanych z upadkiem, tj. przyjęć do szpitala w populacji poddanej PPZ.

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 późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr: OT.441.176.2019 „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania osteoporozy w gminie Buk” realizowany przez: Gminę Buk, Warszawa, grudzień 2019 oraz Raportu „Profilaktyka i wczesne wykrywanie osteoporozy pierwotnej w ramach programów polityki zdrowotnej” z października 2018 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 433/2019 z dnia 23 grudnia 2019 roku

o projekcie programu „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania nadwagi i otyłości wśród dzieci klas III szkoły podstawowej w Gminie Buk na lata 2020-2024”

Rada Przejrzystości opiniuje negatywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania nadwagi i otyłości wśród dzieci klas III szkoły podstawowej w Gminie Buk na lata 2020-2024”.

Uzasadnienie

Program dotyczy ważnego i narastającego problemu zdrowia publicznego, jakim jest otyłość u dzieci. Populację docelową programu stanowią będą dzieci w wieku 9 lat, zamieszkałe na terenie gminy Buk (tj. uczniów klas III szkół podstawowych z terenu gminy Buk) oraz ich rodzice/opiekunowie prawni, którzy zostaną objęci działaniami informacyjno-edukacyjnymi. Populacja docelowa dzieci podczas 5 lat trwania programu obejmie 737 osób.

Program przewiduje następujące interwencje: badanie przesiewowe, polegające na obliczeniu BMI; cykl 5 porad dietetycznych dla wyłonionych w pierwszym etapie osób; przeprowadzenie zajęć edukacyjnych (dzieci/rodzice) z zakresu edukacji żywieniowej i aktywności fizycznej.

Biorąc pod uwagę zaplanowane w programie interwencje, osiągnięcie celu głównego w postaci zmniejszenia częstotliwości występowania nadwagi i otyłości wśród uczestników programu nie będzie jednak możliwe do zrealizowania, ze względu na brak interwencji multikomponentowej, obejmującej terapię behawioralną, komponent żywieniowy i/lub aktywność fizyczną, które wpływają na redukcję wskaźników związanych z masą ciała (waga, BMI, BMI z-score), w populacji dzieci i młodzieży (powyżej 2 r.ż.).

Szkolenia dla rodziców mają mieć „formę prelekcji ustnej opartej o prezentację multimedialną upowszechniającej wiedzę na temat zdrowego żywienia, zapobiegania nadwadze i otyłości, kształtowania prawidłowych wzorców zdrowotnych i żywieniowych, konieczności podejmowania regularnej aktywności fizycznej, utrzymywania wysokiego poziomu motywacji w procesie redukcji nadmiernej i utrzymywaniu prawidłowej masy ciała”. Zajęcia edukacyjne dla dzieci mają mieć charakter warsztatowy np.: „zabawy ruchowe,



komponowanie prawidłowych posiłków, zdrowe alternatywy przekąsek". Nie można jednoznacznie ocenić skuteczności ww. działań edukacyjnych w odniesieniu do nawyków zdrowotnych, nie mówiąc już o istotnych klinicznie punktów końcowych. Program zakłada jedynie analizę zmiany poziomu wiedzy. Należy jednak podkreślić, że sam wzrost wiedzy nie musi przekładać się na zmianę zachowań zdrowotnych.

W programie brakuje szczegółów na temat działań zaplanowanych w ramach ewaluacji. Przykładowo nie wiadomo, w jaki sposób ma być badana „poprawa samooceny zdrowia” albo „poprawa diety i aktywności fizycznej”. Ewaluacja przytoczona w opiniowanym projekcie została opisana w sposób ogólnikowy i z opisu nie wynika, w jaki sposób ma zostać przeprowadzona.

W kosztach jednostkowych programu niedoszacowano kosztu porad dietetycznych. Koszt całkowity programu został oszacowany na 60 870 zł. Program ma zostać sfinansowany ze środków gminy Buk.

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 późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr: OT.441.177.2019 „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania nadwagi i otyłości wśród dzieci klas III szkoły podstawowej w Gminie Buk na lata 2020-2024” realizowany przez: Gminę Buk, Warszawa, grudzień 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 434/2019 z dnia 23 grudnia 2019 roku
o projekcie programu „Program profilaktyki raka szyjki macicy
w gminie Buk na lata 2020-2024”

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki raka szyjki macicy w gminie Buk na lata 2020-2024”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

Celem głównym programu zaplanowanego na lata 2020-24, jest zwiększenie dostępności do badań przesiewowych w kierunku raka szyjki macicy w populacji docelowej kobiet w wieku 60-65 lat zamieszkujących gminę Buk.

Populację docelową, dla proponowanych w programie działań informacyjnych, mają stanowić kobiety w wieku 25-65 lat, a dla działań edukacyjnych i przesiewowych (badanie cytologiczne, diagnostyka raka szyjki macicy w systemie Bethesda 2001) w wieku 60-65 lat, zamieszkujące gminę Buk. Programem przesiewowych badań cytologicznych ma zostać objętych około 110 kobiet rocznie, to znaczy ok 20% populacji docelowej.

W Polsce, w ramach świadczeń gwarantowanych, realizowany jest Program profilaktyki raka szyjki macicy, który obejmuje wykonanie bezpłatnych badań cytologicznych wśród kobiet w wieku 25-59 lat. Wnioskodawca zaproponował 2 cele szczegółowe: (1) „poszerzenie wiedzy i świadomości zdrowotnej w zakresie profilaktyki raka szyjki macicy w populacji docelowej kobiet w wieku 60-65 lat dzięki prowadzonym interwencjom edukacyjnym” oraz (2) „zwiększenie zgłaszalności na badania cytologiczne w populacji kobiet w wieku 25-59 lat, zamieszkujących gminę Buk, stanowiących populację docelową w realizowanym przez NFZ ogólnopolskim programie profilaktyki raka szyjki macicy, dzięki prowadzonym interwencjom informacyjnym”.

Należy zauważyć, że w rekomendacjach niektórych międzynarodowych towarzystw naukowych i organizacji nie zaleca się badań przesiewowych w kierunku raka szyjki macicy u kobiet w wieku >65 lat, które miały wcześniejsze prawidłowe wyniki i nie należą do grupy obciążonej wysokim ryzykiem wystąpienia raka szyjki macicy. Wnioskowana populacja pozostaje więc zgodna z zaleceniami.



Program będzie realizowany przez podmioty wybrane w drodze konkursowej. Sposób organizacji, w tym warunki realizacji programu, nie budzą zastrzeżeń. Ocena jakości świadczeń w programie ma zostać prowadzona przez coroczną analizę wyników ankiety satysfakcji uczestników programu oraz analizę pisemnych uwag przekazywanych przez uczestników do realizatora programu i nie budzi zastrzeżeń. Wnioskodawca w sposób właściwy przedstawił koszty jednostkowe, planowane koszty całkowite oraz źródła finansowania.

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 późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr: OT.441.178.2019 „Program profilaktyki raka szyjki macicy w gminie Buk na lata 2020-2024” realizowany przez: Gminę Buk, Warszawa, grudzień 2019 oraz Aneksu „Programy przeciwdziałania zakażeniom wirusem brodawczaka ludzkiego (HPV) oraz rakowi szyjki macicy – wspólne podstawy oceny” z listopada 2015.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 435/2019 z dnia 23 grudnia 2019 roku

o projekcie programu „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania wad postawy wśród dzieci w wieku szkolnym w gminie Buk”

Rada Przejrzystości opiniuje negatywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania wad postawy wśród dzieci w wieku szkolnym w gminie Buk”.

Uzasadnienie

Deklarowanym przez Wnioskodawcę celem programu jest „poprawa stanu zdrowia populacji dzieci w wieku 12-13 lat w gminie Buk, dotkniętych problemem wad postawy, poprzez kompleksowe działania z zakresu profilaktyki pierwotnej i wtórnej prowadzone w ramach programu w latach 2020-2024”.

Założono cztery zasadnicze elementy proponowanego programu: 1) działania edukacyjne dla rodziców/opiekunów prawnych, 2) badania przesiewowe w VI klasach szkół podstawowych (postawa prawidłowa i nieprawidłowa, skrzywienia boczne kręgosłupa, nadmierna kifoza piersiowa, lordoza pogłębiona), 3) grupowe i zindywidualizowane zajęcia korekcyjne, 4) badanie kontrolne po ukończeniu zajęć korekcyjnych.

Autorzy programu nie wyjaśnili na czym będzie polegała edukacja i w jaki sposób miałyby wpłynąć korzystnie na wady postawy. Badania przesiewowe mają na celu identyfikację dzieci ze skrzywieniami kręgosłupa i zakwalifikowanie wybranych z nich do prowadzonych przez fizjoterapeutów grupowej gimnastyki korekcyjnej z uczestnictwem rodziców w co najmniej dwóch zajęciach. Zajęcia przeprowadzone będą w grupach max. 10 osobowych w cyklu 10 zajęć 30-minutowych odbywających się raz w tygodniu na terenie szkoły. Ponadto zaplanowano indywidualne zajęcia kinezyterapeutycznych odbywające się w cyklu 10 zajęć 30-minutowych, z częstotliwością dwa razy w tygodniu przez kolejnych 5 tygodni. Wnioskodawca nie wykazał, aby w proponowanym przez niego programie prawdopodobne było skorygowanie wykrytych, badaniami przesiewowymi, zniekształceń kręgosłupa. Nie analizowano czy w ogóle możliwe jest uzyskanie takiego efektu w drodze ćwiczeń fizjoterapeutycznych, ani też w jaki sposób tak niewielka liczba ćwiczeń mogła wywołać pozytywne efekty. W przesłanym dokumencie nie wskazano żadnej, wiarygodnej publikacji



z pozytywnymi wynikami analogicznego programu przesiewowego skoliozy młodzieńczej, połączonego ze skuteczną korektą wykrytych wad przy pomocy ćwiczeń fizycznych. Dokonane przez Agencję przeszukanie literatury naukowej pozwala zidentyfikować szereg publikacji, które wskazują, iż aktualnie brak jest dowodów naukowych na skuteczność takiego podejścia.

Czołowe w skali globalnej źródło wiarygodnych ocen prowadzonych na całym świecie programów profilaktyki medycznej - amerykańska grupa zadaniowa ds. programów zapobiegawczych USPSTF, w niedawno zaktualizowanych rekomendacjach z roku 2018 stwierdza, iż obecnie dostępne dowody naukowe nie są wystarczające dla oceny bilansu korzyści i szkód związanych z przesiewem w kierunku skoliozy młodzieńczej (w wieku od 10 do 18 lat). Stanowisko to poparło amerykańskie towarzystwo lekarzy rodzinnych - American Academy of Family Physicians (AAFP) w 2018 r. Negatywne rekomendacje odnośnie prowadzenia programów przesiewowych w kierunku młodzieńczej skoliozy idiopatycznej opublikował również brytyjski narodowy komitet badań przesiewowych (UK National Screening Committee - UK NSC 2016). Autorzy wytycznych SOSORT wskazują, iż właściwe australijskie rady rekomendują przeciwko badaniom przesiewowym w kierunku skoliozy a kanadyjskie rekomendacje dotyczące działań profilaktycznych nie wspominają o skoliozie.

Amerykańskie organizacje zrzeszające osoby związanych z leczeniem skoliozy u dzieci (SRS/POSNA/AAOS/AAP) zachęcające do ćwiczeń w przypadkach skrzywień kręgosłupa w wydanym w roku 2015 Wspólnym Stanowisku przyznały, iż „do tej pory brak jest wyników prospektywnego, kontrolowanego, randomizowanego badania skryningu populacyjnego skoliozy.

Zastrzeżenia dotyczą trzech głównych elementów proponowanego postępowania – edukacji, wykrywania w drodze badania przesiewowego oraz możliwości uzyskania trwałej korekty wady przy pomocy ćwiczeń fizycznych.

Odnośnie samego wykrywania skoliozy w przeglądzie systematycznym Montgomery (w 1990) wskazuje się na niską wartość predykcyjną wyniku dodatniego standardowego badania przesiewowego w kierunku wad postawy (ok. 5%), co oznacza, że 95% dzieci kierowanych jest w wyniku przesiewu na dalszą diagnostykę niepotrzebnie. Ponadto zgodnie z wynikami wspomnianego przeglądu, częstsze badania przesiewowe zwiększają o ok. 30% liczbę skierowań na dalszą diagnostykę, nie zmieniając liczby ostatecznych rozpoznań. W przeglądzie Sabirin 2010 stwierdzono również, że nie ma silnych dowodów na to, że programy skryningowe są w stanie wykryć skoliozę w młodszym wieku, z niższym wynikiem krzywizny w skali Cobba.

Z kolei w aktualnym (opublikowanym w Archives of Physiotherapy 2019, 9-8) przeglądzie metod ćwiczeń specyficznych dla skoliozy Day i wsp. stwierdzają, iż brak jest dostatecznych dowodów by sugerować, iż specyficzne dla skoliozy

ćwiczenia fizjoterapeutyczne mogą skuteczniej niż brak interwencji poprawić kąt Cobba (kąt skrzywienia kręgosłupa) u pacjentów z idiopatyczną skoliozą młodzieńczą.

Rada Przejrzystości zwraca uwagę, iż wielokrotnie w przeszłości negatywnie opiniowała programy wczesnego wykrywania wad postawy. Jednocześnie Rada uważa za bardzo pożyteczne wszelkie działania zwiększające ogólną aktywność fizyczną dzieci i młodzieży, bez wykluczania osób ze skrzywieniami kręgosłupa.

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 późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr: OT.441.179.2019 „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania wad postawy wśród dzieci w wieku szkolnym w gminie Buk” realizowany przez: Gminę Buk, Warszawa, grudzień 2019 oraz Aneksu „Programy profilaktyki i korekcji wad postawy u dzieci – wspólne podstawy oceny” z marca 2018 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 436/2019 z dnia 23 grudnia 2019 roku
w sprawie substancji czynnej peginterferonum alfa-2a
we wskazaniach pozarejestacyjnych: chłoniaki skórne T-komórkowe
(ICD-10 C.84, C.84.0, C.84.1)

Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną peginterferonum alfa-2a we wskazaniach pozarejestacyjnych: chłoniaki skórne T-komórkowe (ICD-10 C.84, C.84.0, C.84.1), pod warunkiem znacznego obniżenia ceny produktów zawierających tę substancję czynną.

Uzasadnienie

Chłoniak skórny T-komórkowy (CTCL), obejmuje wiele form o zróżnicowanym, często powolnym przebiegu, którego całkowite wyleczenie rzadko jest możliwe. Choroba znacząco wpływa na obniżenie jakości i komfortu życia. CTCL należy do chorób rzadkich.

Nie odnaleziono zaleceń dotyczących stosowania pegylowanej formy interferonu alfa-2a w leczeniu pacjentów z CTCL. Jest on natomiast zalecany w leczeniu ziarniaka grzybiastego i choroby Sezary'ego.

Substancja czynna Peginterferonum alfa-2a była przedmiotem oceny w AOTMiT we wnioskowanym wskazaniu. W opinii Rady Przejrzystości nr 155/2019 z dnia 3 czerwca 2019 roku, stwierdzono, że brak jest uzasadnienia dla objęcia refundacją leków zawierających ww. substancję czynną we wskazaniach pozarejestacyjnych, w tym zgodnych z przedmiotowym zleceniem. W uzasadnieniu wskazano, iż nie zidentyfikowano wystarczających dowodów naukowych wskazujących na pozytywny bilans między skutecznością a ryzykiem stosowania peginterferonów we wskazaniach wymienionych w zleceniu. Rada Przejrzystości uzasadniła swoją opinię także faktem, iż pacjenci mają dostęp do interferonów w formie niepegylowanej. W lipcu 2019 roku, producent niepegylowanej formy interferonu alfa-2a opublikował jednak informację o wstrzymaniu dystrybucji leku w Polsce. Pozwolenie na dopuszczenie do obrotu produktu w Polsce straciło ważność. W Urzędowym Wykazie Produktów Leczniczych brak jest obecnie innych produktów leczniczych zawierających interferon alfa - 2a.



Liczba pacjentów z rozpoznaniem zgodnym ze wskazanym w zleceniu w latach 2016-2018 wyniosła 1618. Przy założeniu, że u wszystkich pacjentów zastosowane byłoby leczenie peginterferonem alfa-2a, przez 48 tygodni przy zastosowaniu dawki 180 µg, roczny koszt dla przez płatnika publicznego byłby wysoki i wyniósłby 56 809 662,72 zł.

Z uwagi na brak empirycznych danych lub opinii ekspertów, pozwalających na ocenę realnej liczebności populacji, powyższe oszacowanie należy traktować jako scenariusz maksymalny.

Rada zwraca uwagę, iż łączne wydatki płatnika publicznego nie powinny znacząco przekroczyć dotychczasowych kwot wydawanych na interferon niepegylowany i tym samym cena peginterferonu alfa-2a powinna być znacznie obniżona.

Przedmiot zlecenia

Zlecenie Ministra Zdrowia, zawarte w piśmie PLR.4604.1563.2019.AP z dnia 05.12.2019 r., dotyczyło wydania opinii Rady Przejrzystości w sprawie substancji czynnej peginterferonum alfa-2a, we wskazaniach pozarejestacyjnych: chłoniaki skórne T-komórkowe (ICD-10 C.84, C.84.0, C.84.1).

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 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.).

Wykorzystane źródła danych:

1. Opracowanie na potrzeby oceny zasadności objęcia refundacją leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego, raport nr: WS.4320.14.2019 „Peginterferonum alfa-2a we wskazaniu: chłoniaki skórne T-komórkowe (ICD-10 C.84, C84.0, C84.1). Data ukończenia: 18.12.2019 r.