



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

BP.401.5.2020.MKZ

Protokół nr 3/2020
z posiedzenia Rady Przejrzystości
w dniu 20 stycznia 2020 roku
w siedzibie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (Agencji)

Piotr Szymański otworzył posiedzenie o godzinie 10:07.

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

1. Anna Cieślik
2. Anna Gręziak
3. Maciej Karaszewski
4. Dorota Kilańska
5. Tomasz Pasierski
6. Piotr Szymański
7. Janusz Szyndler

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 Kymriah (tisagenlecleucel) we wskazaniu: ostra białaczka limfoblastyczna z komórek B, oporna na leczenie (ICD-10L C91.0).
3. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Keytruda (pembrolizumab) we wskazaniu: rak urotelialny pęcherza moczowego w stadium uogólnienia (ICD-10: C67.9).
4. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Signifor (pasyreotyd) we wskazaniu: zespół Cushinga zależny od ektopowego wydzielania ACTH przez guz o lokalizacji pozaprzysadkowej (ICD 10: E24).
5. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację sprowadzanego z zagranicy w ramach importu docelowego, produktu leczniczego Wilzin (octan cynku) we wskazaniu: choroba Wilsona.
6. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej współfinansowanym przez UE w ramach EFS: „Regionalny program zdrowotny zapobiegania i wczesnego wykrywania przewlekłej choroby nerek wśród mieszkańców województwa dolnośląskiego”.
7. Przygotowanie opinii o projektach programów polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego:



- 1) „Fizjoterapia dla Mieszkańców Gminy Kamieńsk”,
 - 2) „Program profilaktyki zakażeń pneumokokowych dla osób od 75 r.ż. Z Miasta Krakowa”,
 - 3) „Program przeciwko zakażeniom pneumokokowym dla osób chorujących na nowotwory złośliwe zamieszkałych na terenie miasta Żory”,
 - 4) „Dofinansowanie do leczenia niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego dla mieszkańców miasta Radomska”,
 - 5) „Program polityki zdrowotnej w zakresie szczepień ochronnych przeciwko kleszczowemu zapaleniu mózgu dla mieszkańców gminy Suwałki na lata 2019-2021”,
 - 6) „Mam apetyt na zdrowie” (pow. piaseczyński),
 - 7) „Antybakteryjna redukcja ryzyka próchnicy zębów stałych u dzieci” (m. st. Warszawa).
8. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Imbruvica (ibrutinib) we wskazaniu: przewlekła białaczka limfocytowa z obecnością mutacji TP53 (ICD-10 C91.1) z transformacją typu Richtera.
 9. Przygotowanie opinii w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną anakinra we wskazaniu: inne wrodzone zespoły autozapalne:
 - TRAPS, FMF po nieskuteczności leczenia maksymalną tolerowaną dawką kolchicyny,
 - poligenowe zespoły autozapalne mediowane przez IL-1- Zespół Schnitzlera,
 - amyloidoza wtórna, zależna od zmian autozapalnych.
 10. Losowanie składu Zespołu na kolejne posiedzenia Rady.
 11. Zakończenie posiedzenia.

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

Rada jednogłośnie (7 głosów „za”) zatwierdziła proponowany porządek obrad.

Ad 2. Analityk Agencji podsumował raport w sprawie leku Kymriah (RDTL) we wskazaniu dot. ostrej białaczki limfoblastycznej.

W trakcie prezentacji na posiedzenie przybyli Artur Zaczyński, Rafał Niżankowski oraz Jakub Pawlikowski, którzy nie zadeklarowali konfliktu interesów.

Propozycję opinii Rady przedstawił Maciej Karaszewski.

We wstępnej dyskusji głos zabrali: Rafał Niżankowski oraz Piotr Szymański.

Rada wysłuchiwała dopuszczonego do udziału w posiedzeniu eksperta, który odpowiadał również na pytania Rady.

W dalszej części dyskusji uczestniczyli: Jakub Pawlikowski, Rafał Niżankowski, Anna Cieślik, Piotr Szymański, Janusz Szyndler, Maciej Karaszewski, Jakub Pawlikowski oraz Artur Zaczyński, po czym Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 5 głosami „za”, przy 5 głosach „przeciw” (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 1 do protokołu).

Ad 3. Analityk Agencji zaprezentował najważniejsze informacje z raportu w sprawie leku Keytruda (RDTL) we wskazaniu dot. raka urotelialnego pęcherza moczowego, a propozycję opinii Rady przedstawiła Anna Cieślik.

Wobec braku głosów w dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 2 do protokołu).

Ad 4. Analityk Agencji omówił dane z raportu o leku Signifor (RDTL) we wskazaniu dot. zespołu Cushinga, a propozycję opinii Rady przedstawił Artur Zaczyński.

W dyskusji udział brali: Anna Cieślik, Artur Zaczyński oraz Piotr Szymański, po czym Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 głosów „za”, Rafał Niżankowski nie brał udziału w głosowaniu ze względu na chwilową nieobecność na sali) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 3 do protokołu).

Ad 5. Analityk Agencji streścił raport w sprawie produktu leczniczego Wilzin (import docelowy) we wskazaniu: choroba Wilsona, a propozycję stanowiska Rady przedstawił Tomasz Pasierski.

Głos zabrał Piotr Szymański, po czym zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 8 głosami „za”, przy 2 głosach „przeciw” (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 4 do protokołu).

Ad 6. Analityk Agencji omówił projekt programu polityki zdrowotnej województwa dolnośląskiego, współfinansowanego przez Unię Europejską w ramach Europejskich Funduszy Społecznych, dot. zapobiegania i wczesnego wykrywania przewlekłej choroby nerek.

Propozycję opinii Rady przedstawił Jakub Pawlikowski.

Wobec braku odmiennych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 5 do protokołu).

Ad 7 1) Analityk Agencji omówił program gminy Kamieńsk w zakresie fizjoterapii, a propozycję opinii Rady przedstawiła Anna Cieślik.

Głos zabrała Dorota Kilańska. Po uzupełnieniu treści zaproponowanej opinii, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 6 do protokołu).

2) Analityk Agencji omówił program miasta Krakowa w zakresie profilaktyki zakażeń pneumokokowych, a propozycję opinii Rady przedstawiła Anna Gręziak.

Głos zabrał Maciej Karaszewski, po czym Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 7 do protokołu).

3) Analityk Agencji omówił program miasta Żory w zakresie zakażeń pneumokokowych u osób chorujących na nowotwory złośliwe, a propozycję opinii Rady przedstawiła Anna Gręziak.

Wobec braku odmiennych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 8 do protokołu).

4) Analityk Agencji omówił program miasta Radomsko w zakresie dofinansowania do leczenia niepłodności metodą zapłodnienie pozaustrojowego, a propozycję opinii Rady przedstawił Janusz Szyndler.

W dyskusji głos zabrali Jakub Pawlikowski oraz Piotr Szymański, po czym Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 6 głosami „za”, przy 4 głosach „przeciw” (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 9 do protokołu).

5) Analitik Agencji omówił program gminy Suwałki w zakresie szczepień ochronnych przeciw kleszczowemu zapaleniu mózgu, a propozycję opinii Rady przedstawił Janusz Szyndler.

W dyskusji głos zabrali: Piotr Szymański, Maciej Karaszewski oraz Janusz Szyndler, po czym Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 9 głosami „za”, przy 1 głosie „przeciw” (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 10 do protokołu).

6) Analitik Agencji omówił program powiatu piaseczyńskiego w zakresie diety, a propozycję opinii Rady przedstawiła Dorota Kilańska.

W dyskusji głos zabrali Piotr Szymański oraz Maciej Karaszewski, po czym Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 11 do protokołu).

7) Analitik Agencji omówił program miasta stołecznego Warszawa w zakresie redukcji ryzyka próchnicy u dzieci, a propozycję opinii Rady przedstawiła Dorota Kilańska.

W dyskusji głos zabrali Rafał Niżankowski oraz Piotr Szymański, po czym Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 12 do protokołu).

Ad 8. Analitik Agencji zaprezentował najważniejsze informacje z raportu w sprawie leku Imbruvica (RDTL) we wskazaniu dot. przewlekłej białaczki limfocytowej, a propozycję opinii Rady przedstawił Piotr Szymański.

Wobec braku głosów w dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 7 głosami „za”, przy 3 głosach „przeciw” (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 13 do protokołu).

Ad 9. Propozycję opinii w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną anakinra przedstawił Piotr Szymański.

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

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

Ad 11. Prowadzący zakończył posiedzenie się o godzinie 14:05.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 8/2020 z dnia 20 stycznia 2020 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Kymriah (tisagenlecleucel) we wskazaniu: ostra białaczka limfoblastyczna z komórek B, oporna na leczenie (ICD-10L C91.0)

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Kymriah (tisagenlecleucel), dyspersja do infuzji, we wskazaniu: ostra białaczka limfoblastyczna z komórek B, oporna na leczenie (ICD-10L C91.0).

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Ostra białaczka limfoblastyczna (ang. acute lymphoblastic leukemia, ALL) jest nowotworem wywodzącym się z prekursorów (limfoblastów) linii limfocytów B lub T. Częstość występowania nowych przypadków ALL wynosi 2/100 000 osób rocznie, z czego dorośli stanowią 20-25%. Szczyt zachorowań występuje u dzieci między 2. a 5. rokiem życia, sięgając 6,2 przypadków/100 000 ludności rocznie w USA. W Polsce białaczkę rozpoznaje się co roku w liczbie około 35/mln dzieci. W innych krajach Europy wskaźnik ten wynosi około 44/mln dzieci. ALL jest najczęstszą postacią białaczki u dzieci – stanowi około 75-80% rozpoznań.

Zgodnie z informacjami zawartymi w zleceniu, lek Kymriah ma być zastosowany u pacjenta pediatrycznego (11 lat), ze stwierdzoną ostrą białaczką limfoblastyczną, u którego wcześniej zastosowano następujące terapie:

- *Protokół ALLIC BFM 2009 (HRG);*
- *Protokół IntReALL 2010 (Badanie International Study for Treatment of Standard Risk Childhood Relapsed ALL 2010);*
- *Blinicyto (2 cykle);*
- *Cly/Cy/Eto (klofarabina, cyklofosfamid, etopozyd);*
- *Dazatynib;*
- *Alemtuzumab (cykl 5-dniowy).*

U pacjenta nie przeprowadzono allogenicznego przeszczepu krwiotwórczych komórek macierzystych (allo-HSCT). Rada nie posiada informacji o występowaniu



u pacjenta ekspresji CD19, ale zakłada że, ze względu na wnioskowaną terapię, jest ona obecna.

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Kymriah jest immunologiczną terapią komórkową zawierającą tisagenlecleucel, autologiczne limfocyty T, zmodyfikowane genetycznie w warunkach ex vivo, przy użyciu wektora lentiwirusowego kodującego chimeryczny receptor antygenowy anty-CD19. Wskazanie ostra białaczka limfoblastyczna z komórek B, oporna na leczenie (ICD-10: C91.0) jest zgodne ze wskazaniem rejestracyjnym dla produktu leczniczego Kymriah. Wyniki uzyskiwane u pacjentów z ostrą białaczką limfoblastyczną z komórek B po zastosowaniu produktu Kymriah były lepsze niż po zastosowaniu innych leków dostępnych w tym wskazaniu. W publikacji Maude 2018 prawdopodobieństwo przeżycia całkowitego dla analizowanej populacji po 6 miesiącach wyniosło 90%, natomiast po 12 miesiącach 76%. Mediana przeżycia całkowitego wynosiła 19,1 miesiąca. Wytyczne NCCN 2020 zalecają Tisagenlecleucel dla pacjentów poniżej 26 r.ż. z ostrą CD19-dodatnią białaczką limfoblastyczną z komórek B, nawracającą (≥ 2) lub oporną na leczenie.

Bezpieczeństwo stosowania

W publikacji Maude 2018, u wszystkich pacjentów wystąpiło co najmniej jedno zdarzenie niepożądane w czasie trwania obserwacji. Najczęściej występującymi zdarzeniami niepożądanymi niehematologicznymi raportowanymi w publikacji były m.in.: zespół uwalniania cytokin (77%), zmniejszony apetyt (39%), gorączka neutropeniczna (36%), ból głowy (36%).

W rejestrze CIBMTR zespół uwalniania cytokin i neurotoksyczność obserwowano odpowiednio u 13,3% i 8,6% pacjentów. Zbieżne wyniki uzyskano dla pacjentów poniżej 3 roku życia. Klinicznie istotne infekcje występujące w ciągu 3 miesięcy od momentu podania obserwowano u 35,2% pacjentów.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Wskazanie rejestracyjne dla produktu leczniczego Kymriah jest zgodne ze wskazaniem określonym w zleceniu Ministerstwa Zdrowia tj.: ostra białaczka limfoblastyczna (ALL) z komórek B u pacjenta pediatrycznego, oporna na leczenie, która znajduje się w fazie nawrotu po transplantacji lub w fazie drugiego bądź kolejnego nawrotu. Stosunek korzyści do ryzyka stosowania produktu Kymriah w tym wskazaniu uznano za pozytywny

Konkurencyjność cenowa

Produkt leczniczy Kymriah nie jest refundowany ze środków publicznych i nie podlegał dotychczas ocenie Agencji w we wskazaniu ALL. Koszt terapii produktem Kymriah podany w zleceniu jest skrajnie wysoki. W ocenie analizy kosztów występuje szereg ograniczeń -przede wszystkim nie określono, jakie procedury związane z wytworzeniem produktu Kymriah wchodzą w skład

proponowanej ceny. Na rzeczywiste koszty terapii składają się również m.in. koszty kondycjonowania przed leczeniem (chemioterapia limfodeplecyjna), koszty premedykacji oraz koszty leczenia działań niepożądanych, które prawdopodobnie nie są uwzględnione w cenie podanej w zleceniu.

Koszt stosowania leku inotuzumab (Besponsa) oszacowano przyjmując cenę ze zlecenia Ministerstwa Zdrowia. Oszacowane w ten sposób koszty technologii alternatywnej są istotnie niższe.

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

Dane literaturowe i epidemiologiczne nie pozwalają na wiarygodne oszacowanie populacji docelowej objętej wnioskowanym wskazaniem. W związku z powyższym brak jest możliwości oceny wpływu na budżet płatnika publicznego.

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

Za technologię alternatywną przyjęto inotuzumab (INO) wskazywany przez wytyczne NCCN 2020. Inotuzumab był przedmiotem oceny AOTMiT w ramach RDTL dla pediatrycznego pacjenta z ostrą białaczką limfoblastyczną i otrzymał pozytywne opinie Rady Przejrzystości (31/2019) i Prezesa Agencji (8/2019).

Mechanizm działania inotuzumabu jest ściśle związany z ekspresją antygenu CD22, zatem należy go traktować jako technologię alternatywną jedynie w przypadku potwierdzonej ekspresji CD22.

Uwagi Rady

Rada (opinia nr 6/2020 z dnia 13 stycznia 2020 roku) i Prezes AOTMiT (opinia nr 5/2020 z dnia 15 stycznia 2020 roku) opiniowali negatywnie zasadności finansowania ze środków publicznych leku Kymriah (tisagenlecleucel), dyspersja do infuzji, we wskazaniu: nawrotowy, oporny na leczenie chłoniak rozlany z dużej komórki B (ICD-10: C85.7), w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, jednak dowody naukowe akceptowane przez EMA, w odniesieniu do ostrej białaczki limfoblastycznej, wskazują na wyższą skuteczność interwencji, a wymagania dotyczące przeprowadzenia kolejnych badań naukowych dotyczą wyłącznie bezpieczeństwa i skuteczności w populacji poniżej 3 r.ż.

Ocena technologii w ramach dostępu ratunkowego nie obejmuje analizy efektywności kosztowej interwencji. Wątpliwości Rady budzi podejmowanie decyzji o zasadności finansowania tej terapii ze środków publicznych w sytuacji dużej niepewności co do rzeczywistych kosztów jej stosowania oraz potencjalnie bardzo wysokiego obciążenia płatnika publicznego. Zgodnie z ChPL, terapia powinna być prowadzona wyłącznie w certyfikowanych ośrodkach.

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.422.118.2019, „Kymriah (tisagenlecleucel) we wskazaniu: ostra białaczka limfoblastyczna z komórek B, oporna na leczenie (ICD-10: C91.0)”, data ukończenia: 17 stycznia 2020 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia eksperta przedstawiona w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 9/2020 z dnia 20 stycznia 2020 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Keytruda (pembrolizumab) we wskazaniu: rak urotelialny pęcherza moczowego w stadium uogólnienia (ICD-10: C67.9)

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Keytruda (pembrolizumab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, fiołka à 25 mg/ml, we wskazaniu: rak urotelialny pęcherza moczowego w stadium uogólnienia (ICD-10: C67.9).

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Rak przejściowonabłonkowy (urotelialny) jest nowotworem rozwijającym się najczęściej w dolnych drogach moczowych (pęcherzu moczowym lub cewce moczowej) lub górnych drogach moczowych (miedniczce nerkowej lub moczowodzie). Rak powierzchniowy po wstępnym leczeniu nawraca u 50 - 80% chorych, a następnie zmienia się w postać inwazyjną w ok. 10 - 25% przypadków. Odsetek 5-letnich przeżyć wynosi <50%.

Skuteczność kliniczna i praktyczna

W badaniu randomizowanym III fazy wykazano skuteczność pembrolizumabu, względem standardowej chemioterapii paklitakselem oraz docetakselem, wśród dorosłych pacjentów z zaawansowanym rakiem urotelialnym, z progresją lub nawrotem choroby po leczeniu chemioterapią opartą na związkach platyny. Stosowanie pembrolizumabu (PEM) wiązało się z istotnym statystycznie wydłużeniem przeżycia całkowitego. Wyniki najnowszej analizy cząstkowej wskazują na istotnie statystycznie wyższy odsetek pacjentów uzyskujących ogólną odpowiedź na leczenie, w tym także uzyskujących odpowiedź całkowitą. Stosowanie pembrolizumabu skutkowało utrzymaniem dotychczasowej jakości życia, podczas gdy w grupie chemioterapii obserwowano znaczące jej pogorszenie. Zgodnie z opinią eksperta klinicznego: „Leczenie pembrolizumabem u chorych na zaawansowanego raka urotelialnego,



po wyczerpaniu dostępnych terapii z udziałem klasycznej chemioterapii, poprawia rokowanie co do czasu przeżycia oraz jakości życia”.

Bezpieczeństwo stosowania

Do zdarzeń niepożądanych wymienionych w ChPL Keytruda występujących bardzo często w monoterapii pembrolizumabem należą: niedokrwistość, niedoczynność tarczycy, zmniejszenie łaknienia, ból głowy, duszność, kaszel, biegunka, ból brzucha, nudności, wymioty, zaparcia, wysypka, świąd, bóle mięśniowo-szkieletowe, ból stawów, zmęczenie, astenia, obrzęk i gorączka.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Produkt leczniczy Keytruda jest zarejestrowany we wnioskowanym wskazaniu, co oznacza, że stosunek korzyści do ryzyka stosowania został przez EMA oceniony jako pozytywny.

Konkurencyjność cenowa

Wydatki płatnika publicznego na terapię lekiem Keytruda będą porównywalne lub wyższe od kosztów leczenia komparatorami.

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

Przy założeniu zakresu liczebności populacji docelowej wynoszącej 300 osób, wpływ na sumaryczne wydatki podmiotu zobowiązanego będzie stosunkowo duży.

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

Ewentualnym komparatorem dla pembrolizumabu w ocenianej sytuacji klinicznej mógłby być niwolumab (produkt leczniczy Opdivo) lub atezolizumab (produkt leczniczy Tecentriq).

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.422.117.2019, „Keytruda (pembrolizumab) we wskazaniu: rak urotelialiny pęcherza moczowego w stadium uogólnienia (ICD-10: C67.9), w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych.”, data ukończenia: 16 stycznia 2020 r..



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 10/2020 z dnia 20 stycznia 2020 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Signifor (pasyreotyd) we wskazaniu: zespół Cushinga zależny od ektopowego wydzielania ACTH przez guz o lokalizacji pozaprzysadkowej (ICD-10: E24)

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Signifor (pasyreotyd) we wskazaniu: zespół Cushinga zależny od ektopowego wydzielania ACTH przez guz o lokalizacji pozaprzysadkowej (ICD-10: E24).

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Lek Signifor jest zarejestrowany wg. CHPL w chorobie a nie zespole Cushinga. Zarówno choroba Cushinga jak i zespół ektopowego wydzielania ACTH są rodzajami zespołu Cushinga. Należy jednak zaznaczyć, iż choroba Cushinga obejmuje nadmierne wydzielanie ACTH przez przysadkę, zaś zespół ektopowego wydzielania ACTH dotyczy guza o umiejscowieniu pozaprzysadkowym.

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Według wytycznych klinicznych pierwszą linią leczenia zespołu Cushinga (zespołu ektopowego wydzielania ACTH przez guz o lokalizacji pozaprzysadkowej) jest leczenie operacyjne, farmakoterapia pełni rolę wspomagającą i stanowi II linię leczenia. Wybór terapii drugiego rzutu, w tym leczenia farmakologicznego, dwustronnej adrenalektomii i radioterapii powinien być ustalany indywidualnie dla każdego pacjenta.

Bezpieczeństwo stosowania

Profil bezpieczeństwa pasyreotydu podawanego domięśniowo jest zgodny z profilem klasy analogów somatostatyny, poza większym nasileniem i częstością występowania hiperglikemii po domięśniowym podaniu pasyreotydu. Profil bezpieczeństwa pasyreotydu stosowanego domięśniowo jest zbliżony we wskazaniach dotyczących akromegalii i choroby Cushinga.



Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Rozpatrywane w niniejszym opracowaniu wskazanie wykracza poza zapisy rejestracyjne dla leku Signifor. Wobec tego relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania nie była oceniana przez EMA. Zdaniem ekspertów zastosowanie terapii jest mniej niebezpieczne niż życie z nieleczoną chorobą, mogącą prowadzić do przedwczesnego zgonu.

Konkurencyjność cenowa

W toku procesu analitycznego zidentyfikowano technologię alternatywną, możliwą do zastosowania we wnioskowanym wskazaniu, tj.: metyrapon, rekomendowany w wytycznych praktyki klinicznej oraz przez ekspertów. Metyrapon, zarejestrowany w endogennym zespole Cushinga, nie jest objęty refundacją w Polsce. Z analizy danych kosztowych wynika, że metyrapon jest około 40% tańszy.

Biorąc pod uwagę, iż zlecenie MZ dotyczy ratunkowego dostępu do technologii lekowej (RDTL) założono, że u przedmiotowego pacjenta zostały już wyczerpane wszystkie możliwe do zastosowania w tym wskazaniu dostępne technologie medyczne finansowane ze środków publicznych.

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

Oszacowany, na podstawie danych ze zlecenia Ministerstwa Zdrowia, koszt terapii rocznej (12 cykli) dla 1 pacjenta produktem Signifor (pasyreotyd) wynosi [REDACTED], natomiast dla 50 pacjentów wynosi [REDACTED].

Proponowana dawka 40 mg jest maksymalną zalecaną w omawianym wskazaniu. Wg. CHPL terapię rozpoczynać należy od 10 mg co 4 tygodnie, więc wg. gramatury z wniosku (3 x40mg) wnioskowana terapia wykracza poza 3 cykle przewidziane w RDTL.

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

Produkt leczniczy ketokonazol ma zarejestrowane wskazanie w leczeniu endogennego zespołu Cushinga u dorosłych oraz młodzieży w wieku powyżej 12 lat. Ketokonazol nie znajduje się w aktualnym wykazie leków refundowanych (był w nim zamieszczony po raz ostatni w obwieszczeniu dnia 26 października 2018 r.). W opinii eksperta podkreślono, że ketokonazol jest obecnie niedostępny. Produkt leczniczy mitotan ma zarejestrowane wskazanie w leczeniu objawowym zaawansowanego raka kory nadnerczy (ACC, ang. adrenal cortical carcinoma) nieoperacyjnego, z przerzutami lub wznową nowotworową. Metyrapon ma zarejestrowane wskazanie: endogenny zespół Cushinga. Metopirone (metyraponum) nie jest jednak dopuszczony do obrotu na terytorium Rzeczypospolitej Polskiej i nie jest zarejestrowany w procedurze centralnej (EMA). Jego dostępność jest w Polsce ograniczona. Pozostałe produkty lecznicze nie mają

zarejestrowanych wskazań do stosowania w jakiegokolwiek postaci zespołu Cushinga lub są niedostępne w Polsce.

Uwagi Rady

Ze względu na wnioskowane wskazanie lek będzie podawany poza wskazaniami zawartymi w ChPL (off-label). Metyrapon z kolei jest zarejestrowany w omawianym wskazaniu i o ██████████, ale niedopuszczony do obrotu w Polsce.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt. 4 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 1373 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, nr OT.422.119.2019, „Signifor (pasyreotyd) we wskazaniu: zespół Cushinga zależny od ektopowego wydzielania ACTH przez guz o lokalizacji pozaprzysadkowej (ICD-10: E24)”, data ukończenia: 16 stycznia 2020 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców (Novartis Europharm Limited, Laboratoire HRA Pharma).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem (Novartis Europharm Limited, Laboratoire HRA Pharma) o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

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

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

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: (Novartis Europharm Limited, Laboratoire HRA Pharma).



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 5/2020 z dnia 20 stycznia 2020 roku

w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Wilzin (octan cynku) we wskazaniu: choroba Wilsona

Rada Przejrzystości uważa za zasadne wydawanie zgód na refundację produktu leczniczego Wilzin (octan cynku), kapsułki, 25 mg, we wskazaniu: choroba Wilsona.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Choroba Wilsona jest ciężką nieuleczalną uwarunkowaną genetycznie chorobą rzadką, polegającą na spichrzaniu miedzi, uszkadzającą głównie wątrobę i ośrodkowy układ nerwowy. Większość chorych odpowiada na terapię lekami chelatującymi miedź D-penicylaminą lub trientyną. U chorych, którzy są oporni lub źle tolerują leczenie lekami chelatującymi stosowane są sole cynku: siarczan - Zincteral lub octan - Wilzin. Wilzin jest dopuszczony do obrotu na terenie Rzeczypospolitej Polskiej (rejestracja centralna EMA), jednakże ze względu na niedostępność w obrocie jest sprowadzany z zagranicy. Produkt leczniczy Wilzin nie był dotychczas przedmiotem oceny Agencji, która wydała w tym wskazaniu pozytywne oceny dla Cuprenilu i Syprine (Stanowiska Rady Przejrzystości nr 4/2013 oraz nr 116/2018).

Dowody naukowe

Sole cynku są skuteczne w leczeniu choroby Wilsona. Brak jest dowodów na przewagę Wilzinu nad Zincteralem, jednak część chorych może nie tolerować alternatywnych metod leczenia.

Problem ekonomiczny

Refundacja dotyczyć będzie kilku chorych rocznie, co ograniczy koszty terapii. Zgodnie z oszacowaniami roczne koszty refundacji produktu leczniczego Wilzin będą stosunkowo małe.

Główne argumenty decyzji

U chorych nie tolerujących alternatywnych metod leczenia wnioskowana terapia odpowiada na niezaspokojoną potrzebę medyczną, a populacja chorych, u których znajdzie zastosowanie jest nieduża.



Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 1373 z późn. zm.), w związku z art. 39 ust. 3 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 784 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności wydawania zgody na refundację, raport nr: OT.4311.22.2019 „Wilzin (octan cynku) we wskazaniu: Choroba Wilsona”. Data ukończenia: 15 stycznia 2020 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezisie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 11/2020 z dnia 20 stycznia 2020 roku
o projekcie programu „Regionalny program zdrowotny zapobiegania
i wczesnego wykrywania przewlekłej choroby nerek wśród
mieszkańców województwa dolnośląskiego”

Rada Przejrzystości opiniuje negatywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Regionalny program zdrowotny zapobiegania i wczesnego wykrywania przewlekłej choroby nerek wśród mieszkańców województwa dolnośląskiego”.

Uzasadnienie

Program ukierunkowany jest na wczesne wykrywanie oraz edukację pacjentów w zakresie przewlekłej choroby nerek (PChN), w latach 2020 – 2023. Skierowany jest do ok. 5000 osób w wieku 45-64 lata. Wnioskodawca zaplanował przeprowadzenie działań informacyjno-promocyjnych, badań przesiewowych, konsultacji lekarskich oraz konsultacji dietetycznych dla osób, u których wykryto chorobę. Planowane koszty całkowite programu zostały oszacowane na kwotę 5 984 025 zł z czego 85% pochodzić ma ze środków Europejskiego Funduszu Społecznego. Problem zdrowotny, planowane interwencje, cele i większość mierników opisano poprawnie, ale program budzi poważne wątpliwości dotyczące dublowania świadczeń gwarantowanych, zakresu populacji docelowej objętej badaniami przesiewowymi, zasadności niektórych planowanych działań oraz kosztów.

Badania zaproponowane w programie są dostępne w ramach świadczeń gwarantowanych z zakresu podstawowej opieki zdrowotnej (badanie kreatyniny w surowicy krwi, ogólne badania moczu z oceną białkomoczu oraz osadu moczu) lub w ramach świadczeń gwarantowanych z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej (oznaczenie stężenia albuminy i kreatyniny w moczu).

W odnalezionych wytycznych klinicznych brak jest zaleceń dotyczących przeprowadzania badań przesiewowych wśród osób w wieku od 45 lat, czyli w populacji zaplanowanej przez wnioskodawcę. Zgodnie z rekomendacjami ACP 2015, 2013 badania przesiewowe w populacji osób ze zwiększonym ryzykiem PChN zaleca się w wieku powyżej 55 lat, natomiast inne wytyczne wskazują na wiek powyżej 60 lat (NKF-K/DOQI) oraz powyżej 65 lat (AFCKDI 2011).



Program w niewielkim stopniu usprawnia wczesną diagnostykę i opiekę nad pacjentem. Zgodnie z projektem pacjenci z wynikami badań wskazującymi na PChN zostaną skierowani na konsultację do lekarza nefrologa oraz poinformowani o konieczności zgłoszenia się do lekarza POZ w celu uzyskania skierowania do nefrologa w celu objęcia pacjenta specjalistyczną opieką nefrologiczną po zakończeniu udziału w programie. W związku z powyższym pacjent po odbyciu konsultacji w ramach programu i tak musi wrócić do lekarza POZ po uzyskanie stosownych skierowań.

Projekt zakłada zbyt ogólny sposób pomiaru poziomu wiedzy uczestników, bowiem przewiduje jedynie odpowiedź na pytania w ankiecie satysfakcji: „czy przed przystąpieniem do programu posiadał/a Pan/Pani wiedzę o przewlekłej chorobie nerek” oraz „czy poprzez udział w Programie zwiększył/a Pani/Pan swoją wiedzę na temat przewlekłej choroby nerek”.

Budżet programu wydaje się zawyżony w znacznym stopniu, jeśli weźmie się pod uwagę odnalezione niższe ceny rynkowe planowanych interwencji oraz przyjęte założenie wykonania większości badań u wszystkich uczestników programu. Należy również dodać, że koszty pośrednie przekraczają znacznie limity dopuszczone w „Wytycznych w zakresie kwalifikowalności wydatków w ramach Europejskiego Funduszu Rozwoju Regionalnego, Europejskiego Funduszu Społecznego oraz Funduszu Spójności na lata 2014-2020”.

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.441.189.2019 „Regionalny program zdrowotny zapobiegania i wczesnego wykrywania przewlekłej choroby nerek wśród mieszkańców województwa dolnośląskiego” realizowany przez: Województwo Dolnośląskie, Warszawa, styczeń 2020 oraz Aneksu „Profilaktyka chorób nerek – wspólne podstawy oceny” ze stycznia 2013.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości nr 12/2020 z dnia 20 stycznia 2020 roku o projekcie programu „Fizjoterapia dla Mieszkańców Gminy Kamieńsk”

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Fizjoterapia dla Mieszkańców Gminy Kamieńsk”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest projekt programu polityki zdrowotnej zaplanowany do realizacji przez gminę Kamieńsk w zakresie rehabilitacji leczniczej, zakładający przeprowadzenie cyklu rehabilitacyjnego dla mieszkańców gminy, u których na podstawie badania kwalifikacyjnego zostaną stwierdzone dolegliwości ze strony narządu ruchu. Program ma objąć 600 osób rocznie. Program ma być realizowany w latach 2020-2024.

Głównym założeniem projektu programu jest „uzyskanie maksymalnie możliwej poprawy sprawności i jakości życia osób z populacji mieszkańców Gminy Kamieńsk poprzez objęcie w okresie 2020-2024, świadczeniami fizjoterapeutycznymi do 600 osób rocznie”. Populację docelową programu stanowią wszyscy mieszkańcy gminy Kamieńsk. Zgodnie z treścią projektu, populacja mieszkańców gminy liczy 5 977 osób. W ramach programu zaplanowano przeprowadzenie działań edukacyjnych i fizjoterapeutycznych.

W ramach programu zaplanowano przeprowadzenie działań edukacyjnych i fizjoterapeutycznych. Projekt zawiera opis etapów i działań organizacyjnych. Pierwszym etapem mają być działania organizacyjne obejmujące przeprowadzenia akcji informacyjnej oraz rekrutacji uczestników. Drugim etapem mają być działania edukacyjne i terapeutyczne. Ostatnim etapem wymienionym przez wnioskodawcę są działania kontrolne i sprawozdawcze obejmują e monitorowanie i ewaluację programu. W treści projektu przedstawiono zestawienie kosztów działań fizjoterapeutycznych planowanych w projekcie. Całkowity koszt realizacji ma wynieść 1 000 000 zł. Realizatorem programu będzie podmiot leczniczy, wyłoniony w drodze konkursu ofert, co pozostaje w zgodzie z zapisami ustawowymi.



Na szczególną uwagę zasługują działania mające na celu zapobieganie upadkom. Rada rekomenduje włączenie do programu zindywidualizowanych działań edukacyjnych w tym zakresie.

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.441.186.2019 „Fizjoterapia dla mieszkańców gminy Kamieńsk” realizowany przez: Gminę Kamieńsk, Warszawa, styczeń 2020 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 13/2020 z dnia 20 stycznia 2020 roku

o projekcie programu „Program profilaktyki zakażeń pneumokokowych dla osób od 75 r.ż. Z Miasta Krakowa”

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki zakażeń pneumokokowych dla osób od 75 r.ż. Z Miasta Krakowa”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

*Zakażenia pneumokokowe wywołują zapalenie 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, niedokrwistość 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 zmniejszenie ryzyka zachorowania na choroby wywołane przez *S. pneumoniae* (w tym na inwazyjną chorobę pneumokokową) o min. 20%, w populacji osób objętych programem. Program będzie realizowany w latach 2019 – 2024.*

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 mieszkańcy Krakowa w wieku 75 lat i więcej. W 2019 r w Krakowie mieszkało łącznie 64 730 takich osób. Według wnioskodawcy możliwości finansowe Miasta Krakowa pozwolą na skierowanie działań programu do 70% mieszkańców Krakowa w grupie wiekowej 75+. Planowane jest zaszczepienie rocznie 7 552 osób; liczba zaszczepionych w latach 2020-2024 wyniesie więc 37 760 osób, co stanowi 58% populacji docelowej. 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 (11 627 750 zł., w latach 2019 - 2024). Program ma być finansowany z budżetu Miasta Krakowa. Niezbędne jest skorygowanie błędów i nieścisłości w budżecie programu.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48a ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 1373 z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr: OT.441.188.2019 „Program profilaktyki zakażeń pneumokokowych dla osób od 75 r.ż. z Miasta Krakowa” realizowany przez: Miasto Kraków, Warszawa, styczeń 2020 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 14/2020 z dnia 20 stycznia 2020 roku o projekcie programu „Program przeciwko zakażeniom pneumokokowym dla osób chorujących na nowotwory złośliwe zamieszkałych na terenie miasta Żory” na lata 2020-2022

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program przeciwko zakażeniom pneumokokowym dla osób chorujących na nowotwory złośliwe zamieszkałych na terenie miasta Żory” na lata 2020-2022, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

*Zakażenia pneumokokowe wywoływane są przez bakterie – pneumokoki, czyli 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 i zapalenie płuc z bakteriami. Zapadalność na IChP w przypadku osób dorosłych z niektórymi nowotworami złośliwymi (hematologicznymi oraz litymi) jest istotnie wyższa niż w przypadku ogólnej populacji osób dorosłych. Aby uchronić pacjenta przed groźnymi zakażeniami wywołanymi przez patogeny szczepionkowe w momencie, gdy jego odporność będzie obniżona w wyniku leczenia onkologicznego niezwykle ważne jest wykonanie szczepień ochronnych. Wytyczne dotyczące szczepień w przypadku pacjentów onkologicznych są jedynie wskazówkami – decyzje w kwestii ich realizacji muszą być podejmowane przez specjalistów indywidualnie, w zależności od jednostkowej sytuacji.*

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.



Głównym założeniem programu jest zmniejszenie liczby infekcji (zapadalności na zakażenia pneumokokowe) poprzez zwiększenie liczby osób zaszczepionych przeciw pneumokokom wśród populacji objętej programem.

Realizację programu zaplanowano na lata 2020-2022.

Populację docelową programu stanowią będą osoby zamieszkałe na terenie miasta Żory, chorujące na nowotwory złośliwe, będące przed chemioterapią, które nie były zaszczepione przeciwko pneumokokom oraz u których brak jest przeciwwskazań do przeprowadzenia szczepienia. W projekcie nie określono wieku osób kwalifikujących się do programu. Zgodnie z przyjętym założeniem, iż zastosowana zostanie szczepionka Prevenar 13 w schemacie jednodawkowym, można przyjąć, że szczepieniami objęte będą jedynie osoby pełnoletnie (wg ChPL produktu, jednodawkowy schemat szczepienia dotyczy osób dorosłych w wieku ≥ 18 lat). Istnieją wystarczające rekomendacje do stosowania PCV-13 wśród osób z obniżoną odpornością, wywołaną przez nowotwory złośliwe (PSO 2020, NACI 2016, IDSA 2013, ACIP 2012).

Projekt zakłada objęcie programem rocznie 60 osób chorujących onkologicznie, co wg KRN stanowi około 26% osób zapadających każdego roku na choroby nowotworowe w mieście Żory.

W ramach programu planowane jest przeprowadzenie, poprzedzonego kwalifikacją lekarską, szczepienia przeciwko pneumokokom oraz kampanii informacyjno-edukacyjnej.

Kampania informacyjno-edukacyjna będzie odbywać się w formie bezpośredniej (poprzez rozmowę z lekarzem i pielęgniarką) oraz pośredniej - ulotki informacyjne, plakaty oraz informacje na stronach internetowych realizatorów. Według wytycznych ACS 2017 informacji nt. szczepień powinien udzielić lekarz onkolog. Edukacja ma dotyczyć: zagrożeń związanych z zakażeniami pneumokokowymi, efektów zdrowotnych szczepień, w tym również niepożądanych odczynów poszczepiennych. W programie brak jest informacji o kierowaniu akcji edukacyjnej do rodzin osób chorych onkologicznie. Wg wytycznych IDSA 2013 rodzina powinna poddać się szczepieniom ochronnym szczególnie w przypadku, gdy sam pacjent, z powodu intensywnej chemioterapii, nie może zostać zaszczepiony.

W programie wskazano koszty jednostkowe (330 zł/os). Koszty całkowite zostały oszacowane na 60 000 zł. Program będzie sfinansowany w całości z budżetu Urzędu 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.441.191.2019 „Program przeciwko zakażeniom pneumokokowym dla osób chorujących na nowotwory złośliwe zamieszkałych na terenie miasta Żory” realizowany przez: Miasto Żory, Warszawa, styczeń 2020 oraz Aneksów „Programy profilaktycznych szczepień ochronnych przeciwko grypie w wybranych grupach ryzyka – wspólne podstawy oceny” z lipca 2018 r. oraz „Programy profilaktyki zakażeń pneumokokowych – wspólne podstawy oceny”, z marca 2014 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 15/2020 z dnia 20 stycznia 2020 roku
o projekcie programu „Dofinansowanie do leczenia niepłodności
metodą zapłodnienia pozaustrojowego dla mieszkańców
miasta Radomska”

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Dofinansowanie do leczenia niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego dla mieszkańców miasta Radomska”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady i uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest projekt programu polityki zdrowotnej przesłany przez miasto Radomsko w zakresie leczenia niepłodności, zakładający dofinansowanie przeprowadzenia procedury zapłodnienia pozaustrojowego. Populację docelową będą stanowiły małżeństwa (wiek kobiety do 20-40 r.ż. – warunkowo do 42 r.ż.), nie mogące zrealizować planów rozrodczych poprzez naturalną koncepcję.

Program obejmuje dofinansowanie w wysokości do 5000 zł do jednej procedury biotechnologicznej, nie więcej niż 80% kosztów danej procedury składającej się z: wykonania punkcji pęcherzyków jajowych; znieczulenia ogólnego podczas punkcji; pozaustrojowego zapłodnienia i nadzoru nad rozwojem zarodków in vitro; transferu zarodków do jamy macicy w cyklu stymulowanym i kriokonserwowanych w cyklu spontanicznym; witalizacji zarodków z zachowanym potencjałem rozwojowym; przechowywania zarodków kriokonserwowanych. W ramach kampanii informacyjnej podjęte zostaną przez organizatora programu działania mające na celu dotarcie z właściwą informacją na temat programu do potencjalnych pacjentów. W toku realizacji powyższego wykorzystane zostaną lokalne media, strona internetowa, ulotki, broszury informacyjne, plakaty i billboardy. Realizator programu zostanie wybrany w drodze konkursu, co jest zgodne z zapisami ustawowymi.

Zgodnie z rekomendacjami PTMR/PTG 2018 oraz opiniami ekspertów zaplanowana przez wnioskodawcę procedura zapłodnienia pozaustrojowego IVF ma udowodnioną, najwyższą skuteczność spośród wszystkich metod wspomaganego rozrodu. Leczenie niepłodności w drodze zapłodnienia pozaustrojowego nie jest obecnie w Polsce finansowane w ramach świadczeń



gwarantowanych. Eksperci zwracają uwagę na fakt, iż istnieje wiele sytuacji klinicznych w leczeniu niepłodności, w których dla zapłodnienia pozaustrojowego nie ma alternatywy terapeutycznej.

Głównymi kryteriami kwalifikacji do programu będą: niemożność zrealizowania planów rozrodczych poprzez naturalną koncepcję; wiek kobiety w przedziale 20-40 lat mając w ocenie biochemicznej i ultrasonograficznej szansę na wyidukowanie mnogiego jajczkowania - AMH powyżej 0,7 ng/ml co najmniej trzy pęcherzyki w jajniku (warunkowo do programu przyjęte będą kobiety do 42 roku życia w przypadku dobrze rokującej rezerwy jajnikowej); pozostanie w związku małżeńskim; status mieszkańca miasta Radomska, pozytywne przejście szybkiej kwalifikacji, której podlegać będą pary ze schorzeniem nowotworowym w celu zachowania płodności - mrożenie gamet lub zarodków. Biorąc pod uwagę zaplanowany budżet można oszacować, że z programu będzie mogło skorzystać 20 par rocznie.

Głównym założeniem programu jest „leczenie niepłodności metodami zapłodnienia pozaustrojowego w oparciu o obowiązujące standardy postępowania i procedury medyczne oraz poprawa dostępu dla mieszkańców Radomska do usług medycznych w zakresie leczenia niepłodności”. Należy podkreślić, że cel w postaci poprawy dostępu do usług medycznych w zakresie leczenia niepłodności nie odnosi się do efektu zdrowotnego. Z kolei cel dotyczący leczenia niepłodności metodami wspomaganego rozrodu został sformułowany w postaci działania.

W ramach oceny efektywności programu zakłada się: „monitorowanie wskaźnika cięż klinicznych; monitorowanie wskaźnika cięż wielopłodowych, monitorowanie wskaźnika urodzeń żywych, monitorowanie wskaźnika zespołów hiperstymulacyjnych”. Ewaluacja programu powinna opierać się na porównaniu stanu sprzed wprowadzenia działań w ramach programu, a stanem po jego zakończeniu, co nie zostało uwzględnione w projekcie programu.

Wnioskodawca wskazał, że uczestnikom programu przysługuje możliwość dofinansowania do 2 prób zabiegu zapłodnienia pozaustrojowego w wysokości do 5.000 zł każda nie więcej jednak niż 80% kosztów całej procedury biotechnologicznej. W projekcie programu nie uszczegółowiono kosztów jednostkowych poszczególnych usług wykonywanych w ramach planowanego zapłodnienia pozaustrojowego. Koszty działań informacyjnych oraz monitoringu oszacowano na kwotę 5 000 zł. Całkowity koszt programu wyniesie 105 000 zł. Program będzie finansowany ze środków budżetu miasta Radomska.

Rada Przejrzystości wskazuje dodatkowo, że program powinien zostać uzupełniony o:

- opracowanie przejrzystych zasad sprawiedliwego dostępu do programu zainteresowanych parom;

- *zapewnienie odpowiedniego poradnictwa parom biorącym udział w programie (kwestie ryzyka wynikającego z udziałem w programie np.: zachodzenia w ciążę mnogie; możliwość przedyskutowania wątpliwości w celu umożliwienia podjęcia świadomej decyzji);*
- *wprowadzenie obowiązku szczegółowego informowania beneficjentów o procedurze kriokonserwacji i zasadach jej finansowania, wskazanie liczby komórek jajowych poddawanych zapłodnieniu, pozwalającej określić liczbę zarodków nadliczbowych poddawanych kriokonserwacji;*
- *określenie zasad postępowania z kriokonserwowanymi zarodkami po zakończeniu projektu, na wypadek zakończenia działalności biobanku lub po upływie 20 lat ustawowego obowiązku kriokonserwacji;*
- *stworzenie możliwości skorzystania przez pary z procedury kriokonserwacji komórek jajowych zamiast kriokonserwacji embrionów.*

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.441.192.2019 „Dofinansowanie do leczenia niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego dla mieszkańców miasta Radomska” realizowany przez: Miasto Radomsko, Warszawa, styczeń 2020 oraz Aneksu „Programy z zakresu leczenia niepłodności technikami wspomaganego rozrodu (ART) – wspólne podstawy oceny”, styczeń 2018 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 16/2020 z dnia 20 stycznia 2020 roku

o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej w zakresie szczepień ochronnych przeciwko kleszczowemu zapaleniu mózgu dla mieszkańców gminy Suwałki na lata 2019-2021”

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej w zakresie szczepień ochronnych przeciwko kleszczowemu zapaleniu mózgu dla mieszkańców gminy Suwałki na lata 2019-2021”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest projekt programu polityki zdrowotnej zaplanowany do realizacji przez gminę Suwałki, z zakresu szczepień przeciwko kleszczowemu zapaleniu mózgu. Program ma być realizowany w latach 2019-2021.

Odkleszczowe zapalenie mózgu jest chorobą wywoływaną przez wirusy z rodziny Flaviviridae. Zakażenie przenoszone jest podczas ukłucia przez kleszcze. Po początkowym namnażaniu wirusów w węzłach chłonnych dochodzi do infekcji komórek naczyń mózgowych jak również komórek nerwowych, z objawami zapalenia opon mózgowo-rdzeniowych i/lub mózgu.

Współczynnik zachorowań na kleszczowe zapalenie mózgu w Polsce w roku 2017 wyniósł 0,7/100 000, w tym w powiecie suwalskim 5,2/100 000. Zgodnie z zaleceniami szczepienia ogółu populacji powinny być wykonywane na terenach, gdzie odnotowuje się co najmniej 5 przypadków klinicznych na 100 tys. osób w ciągu roku (CEVAG 2013, WHO 2011). Zapadalność w powiecie suwalskim 5,2/100 000 spełnia wyżej wymienione zalecenie.

Projekt programu 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 dnia 27 lutego 2018 r. W ramach programu planowane jest wykonanie szczepień przeciwko kleszczowemu zapaleniu mózgu, a także prowadzenie działań informacyjno - edukacyjnych. Program jest adresowany do mieszkańców gminy Suwałki, którzy dotąd nie otrzymali szczepień przeciwko kleszczowemu zapaleniu mózgu. Wnioskodawca wskazał, że zgłaszalność do programu zakłada się na poziomie



0,79 % (60 osób),” co ma być spowodowane wysokim stanem zaszczepienia przeciw kleszczowemu zapaleniu mózgu.

W rekomendacjach/wytycznych z przedmiotowego zakresu zaleca się objęcie szczepieniami całej populacji w przypadku terenów wysoce endemicznych (co najmniej 5 przypadków klinicznych na 100 tys. mieszkańców z populacji niezaszczepionej) (CEVAG 2011, WHO 2011). Jak wyżej wspomniano zapadalność w powiecie suwalskim 5,2/100 000 spełnia to zalecenie. Niemniej odsetek populacji (0,79%), który ma być objęty szczepieniem jest bardzo niski. Eksperti kliniczni wskazują na zasadność wykonywania szczepień wśród osób, u których nie stwierdza się obecności przeciwciał przeciwko kleszczowemu zapaleniu mózgu, natomiast wnioskodawca nie przewidział przeprowadzania takich badań. Należy jednak zauważyć, że dane zwarte w charakterystykach szczepionek nie nakładają obowiązku wykonania takiego oznaczenia przed wykonaniem szczepienia.

Wnioskodawca planuje przeprowadzić 2 spotkania informacyjno- edukacyjne w ciągu roku, w których weźmie udział 50 uczestników. W okresie trwania programu uruchomiony ma zostać telefon, pod którym zainteresowani będą mogli uzyskać szczegółowe informacje, dotyczące realizowanego programu zdrowotnego. Zgodnie z zaleceniami szkolenia na temat sposobów zarażenia, przebiegu chorób odkleszczowych oraz ich objawów i sposobów zapobiegania, powinny być skierowane do personelu POZ lub do grup, które są szczególnie narażone na ukąszenia kleszczy.

Szczepienia przeciwko kleszczowemu zapaleniu mózgu znajdują się w Programie Szczepień Ochronnych na 2020 r. wśród szczepień zalecanych. Przedstawiony przez wnioskodawcę trydawkowy schemat szczepień jest powszechnie zalecany (PTEiChZ 2015, WHO 2011). Szczepienia będą realizowane przez wykwalifikowany personel medyczny, posiadający ukończony kurs w zakresie wykonywania szczepień ochronnych.

W projekcie programu przedstawiono koszty jednostkowe, koszty całkowite oraz źródła finansowania. Koszt szczepienia (uwzględniający 3 dawki szczepionki, 3 badania kwalifikacyjne oraz 3 podania) oszacowano na 450 zł. Na działania informacyjno-edukacyjne założono 2 000 zł rocznie. Roczny koszt programu ma wynieść 29 000 zł, natomiast całkowity koszt to 58 000 zł. Program ma zostać sfinansowany ze środków gminy Suwałki.

Uwagi Rady:

1. Należy rozważyć rozszerzenie planowanej populacji objętej szczepieniem. Uzyskanie założonych celów, przy tak niewielkiej liczbie osób objętej szczepieniem jest mało prawdopodobne;
2. Działania informacyjno-edukacyjne powinny być ukierunkowane na personel POZ lub osoby szczególnie narażone na ukąszenia kleszczy.

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.441.194.2019 „Program polityki zdrowotnej w zakresie szczepień przeciwko kleszczowemu zapaleniu mózgu dla mieszkańców gminy Suwałki na lata 2019-2021” realizowany przez: Gminę Suwałki, Warszawa, styczeń 2020 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 17/2020 z dnia 20 stycznia 2020 roku o projekcie programu „Mam apetyt na zdrowie” (pow. piaseczyński)

Rada Przejrzystości opiniuje negatywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Mam apetyt na zdrowie” pow. piaseczyńskiego.

Uzasadnienie

W Programie wskazano cel główny, który jest trudny do zmierzenia. Opisano etapy projektu z uwzględnieniem międzynarodowych wytycznych, z wyjątkiem interwencji realizowanych przez pielęgniarkę.

Edukacja będzie prowadzona w formie wykładu i skierowana do grupy uczniów. Skuteczna edukacja winna być zindywidualizowana z wykorzystaniem modelu wywiadu motywującego i po rozpoznaniu potrzeb, gotowości do zmiany, statusu fizycznego, psychicznego. Zalecenia dietetyczne, dla populacji uczestniczącej w projekcie, oraz związane z aktywnością fizyczną, zaplanowano pod postacią indywidualnego planu opieki, przygotowanego niezależnie przez poszczególnych profesjonalistów. Skoordynowane interwencje powinny być oparte o interprofesjonalny, kompleksowy plan opieki, wzmacniający skuteczność programu. W drugiej fazie projektu w zespole nie uwzględniono pielęgniarki. Dla skoordynowania opieki w programie powinien być wyznaczony jego koordynator, który wraz z interprofesjonalnym zespołem powinien opracować kompleksowy plan opieki. Wnioskodawca nie zaplanował przygotowania protokołu edukacyjnego (przewodnika), na podstawie którego realizowana będzie edukacja. Nie ma więc pewności co do spójności przekazywanych treści przez zaangażowanych w proces profesjonalistów. Liczba prowadzonych interwencji winna być realizowana zgodnie z indywidualnymi potrzebami, a interwencje prowadzone co najmniej przez jeden miesiąc.

Brak jest informacji w oparciu o jakie wytyczne prowadzone będą interwencje pielęgniarskie. W programie nie wskazano kompetencji pielęgniarek realizujących projekt. Brak jest także wskazania materiałów, na podstawie których projekt będzie realizowany, w tym szczególnie narzędzi do oceny wdrożenia komponentu edukacyjnego.



Działania multikomponentowe mają charakter jednorazowy, co nie gwarantuje ich skuteczności. Wykonanie badań związanych z projektem przewiduje m.in. wykorzystanie funduszy POZ, co podnosi ryzyko efektywności programu.

W programie nie podano żadnych kryteriów wykrycia, przez pielęgniarkę, zaburzeń i chorób wymagających dalszego leczenia. Ocena jakości świadczeń została zaplanowana niepoprawnie, wskaźniki pomiaru (w drugim module) zostały sformułowane niepoprawnie, ewaluacja programu została zaplanowana niepoprawnie, brak jest wymogów co do personelu prowadzącego edukację, nie podano częstotliwości spotkań edukacyjnych z rodzicami, brak jest określenia składowych kosztów interwencji kompleksowej. Mierniki efektywności powinny wskazywać skuteczność programu na poziomie struktury, procesu i wyniku.

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.441.195.2019 „Mam apetyt na zdrowie” realizowany przez: Powiat Piaseczyński, Warszawa, styczeń 2020 r. oraz Aneksu „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 18/2020 z dnia 20 stycznia 2020 roku

o projekcie programu „Antybakteryjna redukcja ryzyka próchnicy zębów stałych u dzieci” (m. st. Warszawa)

Rada Przejrzystości opiniuje negatywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Antybakteryjna redukcja ryzyka próchnicy zębów stałych u dzieci” (m. st. Warszawa).

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest projekt programu polityki zdrowotnej zaplanowany do realizacji przez Miasto Warszawa w zakresie profilaktyki próchnicy.

Cel główny programu to obniżenie częstości występowania próchnicy zębów u uczniów klas I i V szkół podstawowych i zapobieganie chorobie próchnicowej poprzez działania informacyjno-edukacyjne w zakresie zdrowia jamy ustnej skierowane do dzieci, ich rodziców/opiekunów prawnych i nauczycieli.

Program przewiduje działania edukacyjne w zakresie promocji zdrowia (prelekcje i pogadanki z zakresu profilaktyki chorób jamy ustnej) skierowane do: uczniów, rodziców/opiekunów prawnych oraz wychowawców oraz aplikację 10% powidonku jodu we wszystkie powierzchnie zębów wśród dzieci w wieku 7 i 11 lat. Program ma być realizowany w latach 2020-2022.

Żadna odnaleziona rekomendacja nie odnosi się do stosowania powidonku jodu w profilaktyce stomatologicznej. Wnioski z badania prospektywnego na małej populacji dzieci dotyczącego poziomu bakterii Streptococcus Mutans, które odpowiedzialne są za powstawanie zmian próchnicowych, wskazują, że płukanie jamy ustnej może być dodatkiem do leczenia, pomocnym w redukowaniu liczby bakterii Streptococcus Mutans, dającym jednak tylko krótkotrwały efekt. W przypadku wykonywania płukania ust zalecanym preparatem jest chlorheksydyna, gdyż uzyskane wyniki wskazują, że ma lepszą skuteczność niż powidonek jodu i placebo (Neeraja 2008). Badanie randomizowane na bardzo małej populacji dzieci wskazały, że powidonek jodu nie redukuje istotnie poziomu Streptococcus Mutans u dzieci i nie ma istotnego działania prewencyjnego (Amin 2004). Podsumowując nie odnaleziono dowodów naukowych, które wskazywałyby na długotrwały efekt zaplanowanej interwencji.



Wpływ na obniżenie częstości występowania próchnicy mogą mieć natomiast zaplanowane w programie działania edukacyjne.

W Programie zaplanowano zatem interwencje oparte o nieskuteczne metody profilaktyki próchnicy. Istnieją niejasności co do grupy, która będzie podlegała interwencjom edukacyjnym, nie zaplanowano narzędzi do pomiaru zwiększenia wiedzy i zachowań w kierunku prozdrowotnych, nie wskazano kryterium włączenia do edukacji. W odniesieniu do niektórych interwencji nie wskazano narzędzi do pomiaru ich efektywności. Ponadto nie określono kryteriów ryzyka próchnicy i nie scharakteryzowano co oznacza „wysokie ryzyko”. Część interwencji zaplanowanych dla dzieci 7-letnich powiela świadczenia finansowane przez NFZ. Ewaluacja została przygotowana nieprawidłowo. Planowane koszty całkowite programu ujęte w budżecie miasta zostały określone na 6 106 800 zł (ok. 2 035 600 zł rocznie).

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.441.130.2019 „Profilaktyka wad postawy wśród uczniów szkół podstawowych na lata 2020-2022” realizowany przez: Województwo Zachodniopomorskie, Warszawa, październik 2019 oraz Aneksu „Programy profilaktyki i korekcji wad postawy u dzieci – wspólne podstawy oceny” z marca 2018 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezisie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 19/2020 z dnia 20 stycznia 2020 roku
w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych,
w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych,
leku Imbruvica (ibrutinib) we wskazaniu: przewlekła białaczka
limfocytowa z obecnością mutacji TP53 (ICD-10 C91.1)
z transformacją typu Richtera

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Imbruvica (ibrutinib), kapsułki twarde a 140 mg, we wskazaniu: przewlekła białaczka limfocytowa z obecnością mutacji TP53 (ICD-10 C91.1) z transformacją typu Richtera.

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Transformacja Richtera może wystąpić u 2 - 3% chorych z przewlekłą białaczką limfocytową. Chłoniaki powstałe w wyniku transformacji charakteryzują się bardziej agresywnym przebiegiem niż postacie de novo i opornością na chemioterapię. Rokowanie jest złe z medianą czasu przeżycia około 8 miesięcy.

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Wskazanie, którego dotyczy wniosek nie zawiera się we wskazaniu rejestracyjnym produktu leczniczego Imbruvica. Niskiej jakości dowody naukowe w postaci pojedynczych analiz retrospektywnych i opisów przypadków wskazują na możliwość uzyskania całkowitej lub częściowej odpowiedzi na leczenie u części chorych z transformacją Richtera.

Bezpieczeństwo stosowania

Najczęściej występującymi działaniami niepożądanymi ($\geq 20\%$) związanymi ze stosowaniem leku są: biegunka, wysypka, powikłania krwotoczne, neutropenia, bóle mięśniowo - szkieletowe, nudności i trombocytopenia. Najczęstszymi działaniami niepożądanymi stopnia 3./4. są: neutropenia, zapalenie płuc i trombocytopenia.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania



Ponieważ wskazanie, którego dotyczy wniosek nie zawiera się we wskazaniu rejestracyjnym produktu leczniczego Imbruvica i EMA nie przeprowadziła oceny relacji korzyści do ryzyka.

Konkurencyjność cenowa

Koszt 3-miesięcznej terapii Imbruvica jest wysoki.

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

Brak oszacowania wielkości populacji docelowej nie pozwala na określenie wpływu na wydatki płatnika publicznego, za wyjątkiem wspomnianych wyżej jednostkowych kosztów terapii.

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

Alternatywnymi technologiami medycznymi wskazywanymi przez wytyczne mogą być immunochemioterapia R-CHOP, która była już stosowana oraz allogeniczny przeszczep krwiotwórczych komórek macierzystych. Rada nie posiada wyczerpujących informacji na temat zarówno stanu klinicznego chorego jak i jego leczenia, jednak zakłada, że wszystkie możliwe do zastosowania w danym wskazaniu dostępne technologie medyczne finansowane ze środków publicznych zostały wyczerpane.

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.422.2.2020, „Imbruvica (ibrutinib) we wskazaniu Przewlekła białaczka limfocytowa z obecnością mutacji TP53 (ICD-10: C91.1) z transformacją typu Richtera”, data ukończenia: 16 stycznia 2020 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości nr 20/2020 z dnia 20 stycznia 2020 roku w sprawie substancji czynnej anakinra w wybranych wskazaniach pozarejestacyjnych

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną anakinra we wskazaniach pozarejestacyjnych:

1. *Inne wrodzone zespoły autozapalne:*
 - a. *TRAPS;*
 - b. *FMF, po nieskuteczności leczenia maksymalną tolerowaną dawką kolchicyny;*
2. *Poligenowe zespoły autozapalne mediowane przez IL-1:*
 - a. *Zespół Schnitzlera;*
3. *Amyloidoza wtórna, zależna od zmian autozapalnych.*

Uzasadnienie

Dnia 20 lutego 2017 r. Rada przejrzystości wydała pozytywną opinię w sprawie objęcia refundacją leku Kineret (anakinra) w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego [ORP 40/2017]. W opinii Rady aktualnie dostępne dowody naukowe nie zmieniają w istotny sposób stanu wiedzy na temat skuteczności leku w w/w wskazaniach. Tym samym Rada uznaje za właściwe kontynuowanie refundacji substancji czynnej Anakinra w wyżej wymienionych wskazaniach pozarejestacyjnych.

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 Rady Przejrzystości w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych leków we wskazaniach innych niż ujęte w Charakterystyce Produktu Leczniczego, Raport nr: OT.4321.57.2019 „Anakinra w wybranych wskazaniach pozarejestacyjnych: inne wrodzone zespoły autozapalne: - TRAPS, FMF po nieskuteczności leczenia maksymalną tolerowaną dawką kolchicyny;



- poligenowe zespoły autozapalne mediowane przez IL-1- Zespół Schnitzlera; - amyloidoza wtórna, zależna od zmian autozapalnych”, data ukończenia: 15 stycznia 2020 r.