



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

BP.401.9.2020.LAn

Protokół nr 7/2020
z posiedzenia Rady Przejrzystości
w dniu 17 lutego 2020 roku
w siedzibie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (Agencji)

Rafał Niżankowski otworzył posiedzenie o godzinie 10:03.

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

1. Barbara Jaworska-Łuczak
2. Dorota Kilańska
3. Tomasz Młynarski
4. Michał Myśliwiec – prowadził posiedzenie w zakresie części pkt 8.
5. Rafał Niżankowski – prowadził posiedzenie z wyłączeniem części pkt 8.
6. Jakub Pawlikowski
7. Tomasz Romańczyk
8. Rafał Suwiński
9. Janusz Szyndler

Członkowie Rady nieobecni na posiedzeniu:

1. Maciej Karaszewski

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: rak jelita grubego (ICD-10: C18).
3. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Zessly (infliksymb) we wskazaniu: łuszczyca krostkowa uogólniona (ICD-10: L40.1).
4. Przygotowanie opinii w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną chloroquinum we wskazaniach: choroby autoimmunizacyjne inne niż określone w ChPL, porfiria skórna późna.



5. Przygotowanie opinii w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną metforminum we wskazaniu: zespoły insulinooporności w przypadkach innych niż w przebiegu cukrzycy.
6. Przygotowanie opinii w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną venlafaxinum we wskazaniu: bólowa polineuropatia cukrzycowa.
7. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności zakwalifikowania badań genetycznych jako świadczeń gwarantowanych w ramach ambulatoryjnej opieki specjalistycznej: „Profil ekspresji genów GEP - różne zestawy diagnostyczne dedykowane poszczególnym nowotworom”.
8. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej współfinansowanego przez UE w ramach EFS: „Regionalny Program Zdrowotny Województwa Zachodniopomorskiego – Prewencja chorób sercowo-naczyniowych u pacjentów onkologicznych na lata 2020-2022”.
9. Przygotowanie opinii o projektach programów polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego:
 - 1) „Wczesne wykrywanie wad wzroku wśród uczniów pierwszych klas szkół podstawowych na terenie Gminy Wieluń na lata 2020-2023”,
 - 2) „Program wczesnego wykrywania wad słuchu i wzroku wśród dzieci i młodzieży w Gminie Walce na lata 2020-2022”,
 - 3) „Program przeciwdziałania wadom postawy u dzieci w Gminie Walce na lata 2020-2022”.
10. Losowanie składu Zespołu na kolejne posiedzenia Rady.
11. Zakończenie posiedzenia.

Ad 1. Rafał Suwiński zgłosił konfliktu interesów w stosunku do leku Opdivo. Rada jednogłośnie zdecydowała o wyłączeniu go z głosowania nad wnioskiem (9 osób „za”).

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

Ad 2. Jakub Pawlikowski przedstawił propozycję opinii w sprawie leku Opdivo (RDTL) we wskazaniu dot. raka jelita grubego.

Głos w dyskusji zabrali: Rafał Suwiński, Jakub Pawlikowski, Michał Myśliwiec i Rafał Niżankowski, po czym Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (8 głosów „za”; Rafał Suwiński nie brał udziału w głosowaniu, z uwagi na zgłoszony konflikt interesów) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 1 do protokołu).

Ad 3. Analityk Agencji przedstawił dane z raportu dla leku Zessly (RDTL) we wskazaniu dot. łuszczycy krostkowej. Głos zabrał Tomasz Romańczyk, a propozycję opinii przedstawiła Barbara Jaworska-Łuczak.

W wyniku krótkiej dyskusji, Rafał Niżankowski, Michał Myśliwiec, Tomasz Romańczyk i Barbara Jaworska-Łuczak zmodyfikowali treść opinii, po czym Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 2 do protokołu).

Ad 4. Propozycję opinii w sprawie leków zawierających substancję czynną chloroquinum we wskazaniach: choroby autoimmunizacyjne i porfiria skórna późna przedstawił Tomasz Romańczyk.

Wobec braku głosów odmiennych od przedstawionej propozycji opinii, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 3 do protokołu).

Ad 5. Propozycję opinii dot. leków zawierających substancję czynną metforminum we wskazaniu: zespoły insulinooporności przedstawił Rafał Niżankowski.

Posiedzenie opuściła Barbara Jaworska-Łuczak.

Wobec braku głosów odmiennych od przedstawionej propozycji opinii, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (8 osób „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 4 do protokołu).

Ad 6. Propozycję opinii dot. leków zawierających substancję czynną venlafaxinum we wskazaniu: bólowa polineuropatia cukrzycowa przedstawił Janusz Szyndler.

Wobec braku głosów odmiennych od przedstawionej propozycji opinii, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (7 osób „za”; w głosowaniu nie brał udziału Tomasz Romańczyk, z uwagi na chwilową nieobecność na sali) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 5 do protokołu).

Ad 7. Analityk Agencji omówił kwestie związane z kwalifikacją badania genetycznego „Profil ekspresji genów GEP” jako świadczenia gwarantowanego, a propozycję stanowiska Rady przedstawił Tomasz Młynarski.

Głos w dyskusji zabrali Rafał Suwiński i Rafał Niżankowski. Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (8 głosów „za”) uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 6 do protokołu).

Ad 8. Analityk Agencji podsumował raport w sprawie programu polityki zdrowotnej woj. zachodniopomorskiego dot. prewencji chorób sercowo-naczyniowych.

Prowadzenie posiedzenia przejął Michał Myśliwiec.

W dyskusji Rady udział wzięli Dorota Kilańska, Rafał Suwiński, Michał Myśliwiec i Tomasz Romańczyk.

Prowadzenie posiedzenia przejął ponownie Rafał Niżankowski.

Propozycję opinii przedstawił Michał Myśliwiec, po czym Rada kontynuowała dyskusję, w której uczestniczyli: Tomasz Romańczyk, Michał Myśliwiec, Rafał Niżankowski i Rafał Suwiński.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 6 głosami „za”, przy 2 głosach „przeciw” (8 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 7 do protokołu).

Ad 9. 1) Analityk Agencji zaprezentował temat dot. programu polityki zdrowotnej gm. Wieluń w zakresie wad wzroku, a propozycję opinii przedstawił Rafał Suwiński.

Głos zabrał Rafał Niżankowski, po czym zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 7 głosami „za”, przy 1 głosie „przeciw” (8 osób obecnych) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 8 do protokołu).

2) Analityk Agencji przedstawił prezentację dot. programu polityki zdrowotnej gm. Walce w zakresie wad słuchu i wzroku, a propozycję opinii przedstawił Rafał Suwiński.

Wobec braku głosów odmiennych od przedstawionej propozycji opinii, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 7 głosami „za”, przy 1 głosie „przeciw” (8 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 9 do protokołu).

3) Analityk Agencji omówił dane z raportu dot. programu polityki zdrowotnej gm. Walce w zakresie wad postawy, a propozycję opinii przedstawiła Dorota Kilańska.

Głos w dyskusji zabrali Rafał Niżankowski i Dorota Kilańska, a Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (8 osób obecnych) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 10 do protokołu).

Ad 10. Przeprowadzono losowanie składu Zespołu na posiedzenie Rady w dniu 11 maja 2020 r.

Ad 11. Prowadzący zakończył posiedzenie się o godzinie 12:08.

Michał Myśliwiec
Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości
(w zakresie części pkt 8. porządku obrad)

Rafał Niżankowski
Przewodniczący Rady Przejrzystości
(w zakresie pkt 1.-8. i 8.-11. porządku obrad)

.....
(data i podpis)

.....
(data i podpis)



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 31/2020 z dnia 17 lutego 2020 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych,
w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku
Opdivo (niwolumb) we wskazaniu: rak jelita grubego (ICD-10 C18)

Rada Przejrzystości uważa za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Opdivo (niwolumab) koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji 10mg/ml we wskazaniu: rak jelita grubego (ICD-10 C18) pod warunkiem stosowania tylko w przypadku dobrego stanu funkcjonalnego (0 do 1 w skali WHO) oraz z rozpoznaną niestabilnością mikrosatelitarną.

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Rak jelita grubego zajmuje w Polsce 2. miejsce wśród przyczyn zgonów na nowotwory złośliwe. Zapadalność i umieralność na ten nowotwór nadal rosną. Rokowanie w raku jelita grubego zależy przede wszystkim od stopnia zaawansowania nowotworu w momencie operacji. Przeciętny odsetek 5 letnich przeżyć wynosi 50-60% (w Polsce ~40%). Produkt leczniczy Opdivo nie był oceniany w Agencji ww. wskazaniu.

Zgodnie z dodatkowymi uwagami dotyczącymi zlecenia MZ wnioskowana terapia dotyczy pacjenta z rakiem jelita grubego, po hemikolektomii, z przerzutami do wątroby, u którego dotychczasowe leczenie obejmowało leczenie: systemowe wg schematu FOLFIRI (folinian wapnia, oksaliplatyna, fluorouracyl), II rzutu wg schematu FOLFOX z bewacyzumabem, III rzutu kepecytabiną z mitomycyną, IV rzutu triflurydyną z typiracylem (w trakcie leczenia). Potwierdzono mutacje w genie KRAS i niestabilność mikrosatelitarną (MSI-H - ang. microsatellite instability-high).

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Odnaleziono publikacje Overman 2017, w której opisano wyniki badania II fazy (CheckMate 142) dotyczące oceny skuteczności i bezpieczeństwa monoterapii niwolumabem w leczeniu raka jelita grubego, u chorych z rakiem jelita grubego z niestabilnością mikrosatelitarną. Nie odnaleziono badań, w których bezpośrednio porównano wnioskowaną technologię z komparatorem



(opisywane badanie Checkmate 142 jest badaniem jednoramiennym, cechującym się niższą jakością niż badania z grupą kontrolną).

Wśród 74 pacjentów, na podstawie oceny badacza odpowiedź częściową osiągnięto u 23 pacjentów, obiektywny wskaźnik odpowiedzi wyniósł $ORR = 31,1\%$ [95% CI: 20,8; 42,9], a całkowite przeżycie (OS) uzyskało 73% pacjentów [95% CI: 62; 82]. Wśród 74 pacjentów włączonych do badania u 53 pacjentów potwierdzono występowanie niestabilności satelitarnej (MSI-H) – w tej grupie obiektywny wskaźnik odpowiedzi (ORR) wyniósł 35,8% [95% CI: 23,1; 50,2], u jednego pacjenta osiągnięto odpowiedź całkowitą, a u 18 pacjentów osiągnięto odpowiedź częściową $ORR = 35,8\%$ [95% CI: 23,1; 50,2].

Wytyczne NCCN w przypadku pacjentów z zaawansowaną czy też przerzutową postacią raka jelita grubego z potwierdzoną niestabilnością mikrosatelitarną (MSI-H) lub niezgodnością deficytu naprawczego (dMMR), leczonych wcześniej oksaliplatyną, irynotekanem, triflurydyną i typiracylem, zalecają stosowanie niwolumabu (zarówno w monoterapii, jak i w skojarzeniu z ipilimumabem) (kategoria 2A).

Według ankietowanych ekspertów klinicznych brak informacji dotyczących stanu klinicznego chorego uniemożliwia prognozowanie skuteczności. Wydaje się również, że celem terapii nie będzie wyleczenie, a jedynie poprawa jakości życia lub zapobieganie przedwczesnemu zgonowi.

Bezpieczeństwo stosowania

Zdarzenia niepożądane odnotowano u 73 (98,6%) pacjentów w badaniu, w tym u 52 pacjentów odnotowano zdarzenia niepożądane związane z leczeniem niwolumabem. U 39,2% pacjentów wystąpiły zdarzenia niepożądane stopnia 1-2, u 40,5% stopnia 3 oraz u 13,5% stopnia 4. Poważne zdarzenia niepożądane związane z terapią niwolumabem wystąpiły u 9 pacjentów (12%) i obejmowały niewydolność nadnerczy, podwyższone poziomy ALAT, zapalenie okrężnicy, biegunkę, zapalenie żołądka, zapalenie jamy ustnej, ostre uszkodzenie nerek, ból lub zapalenie stawów. W związku z progresją choroby lub z nieokreślonej przyczyny zmarło 23 pacjentów (31,1%). Do 100 dni po podaniu ostatniej dawki leku zmarło 12 pacjentów (13,5%). Żaden zgon nie został powiązany z toksycznym działaniem niwolumabu.

Według ChPL do działań niepożądanych niwolumabu występujących bardzo często ($\geq 1/10$ przypadków) należą: neutropenia, biegunka, nudności, wysypka, świąd, uczucie zmęczenia, zwiększenie aktywności AspAT, zwiększenie aktywności ALAT, zwiększenie aktywności fosfatazy alkalicznej, zwiększenie aktywności lipazy, zwiększenie aktywności amylazy, hipokalcemia, zwiększenie stężenia kreatyniny, hiperglikemia, limfocytopenia, leukopenia, małopłytkowość, niedokrwistość, hiperkalcemia, hiperkaliemia, hipokaliemia, hipomagnezemia, hiponatremia.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Wskazanie, którego dotyczy wnioszek nie zawiera się we wskazaniu rejestracyjnym produktu leczniczego Opdivo. Tym samym dla niniejszego wskazania EMA nie przeprowadziła oceny relacji korzyści do ryzyka. FDA w 2017 roku zarejestrowała niwolumab do leczenia dla zaawansowanych raków jelita grubego po przebytym leczeniu opartym na fluorouracylu. W opinii ankietowanych ekspertów klinicznych leczenie to wydaje się wartościowym. Brak badań 3 fazy porównujących stosowanie niwolumabu do leczenia objawowego, co uniemożliwia bardziej wiarygodne wnioskowanie o przewadze korzyści nad ryzykiem, szczególnie, że pacjent leczony był już wcześniej innym przeciwciałem (bewacyzumabem).

Konkurencyjność cenowa

Zgodnie ze złożonym wnioskiem koszt trzech miesięcy terapii lekiem Opdivo (6 podań po 240 mg co 2 tygodnie; 6 fiolek po 4 ml, 12 fiolek po 10 ml, 10 mg/ml) wyniesie [REDAKTOWANE] brutto.

Na podstawie przeglądu wytycznych klinicznych stwierdzono, że potencjalnym komparatorem jest lek Keytruda (pembrolizumab), którym koszt 3-miesięcznej terapii wynosi 135 196,24 zł. Powyższe oszacowanie nie uwzględnia ewentualnych RSS.

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

Zdaniem ekspertów klinicznych populacja docelowa wynosi kilkudziesięciu do 100 chorych rocznie (brak jest jednak odpowiednich rejestrów i wiarygodnych danych). Szacowane koszty rocznej terapii niwolumabem są wysokie i wynoszą [REDAKTOWANE] (przy 20 pacjentach) do [REDAKTOWANE] (przy 100 pacjentach), są jednak kilkukrotnie niższe od kosztów terapii pembrolizumabem.

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

Na podstawie przeglądu wytycznych klinicznych stwierdzono, że potencjalnym komparatorem jest lek Keytruda (pembrolizumab). Wytyczne NCCN 2019 zalecają stosowanie niwolumabu ± ipilimumabu lub pembrolizumabu u pacjentów z rakiem jelita grubego z niestabilnością mikrosatelitarną (MSI-H) lub niezgodnością deficytu naprawczego (dMMR).

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

nr: OT.422.7.2020 „Opdivo (niwolumab) we wskazaniu rak jelita grubego (ICD-10 C18)”. Data ukończenia: 12 lutego 2020 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Bristol-Myers Squibb Pharma EEIG).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Bristol-Myers Squibb Pharma EEIG 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: Bristol-Myers Squibb Pharma EEIG.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 32/2020 z dnia 17 lutego 2020 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Zessly (infliksymb) we wskazaniu: łuszczyca krostkowa uogólniona (ICD-10: L40.1)

Rada Przejrzystości uważa za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Zessly (infliksymb), proszek do sporządzania koncentratu roztworu do infuzji, 100 mg, we wskazaniu: łuszczyca krostkowa uogólniona (ICD-10: L40.1).

Rada uważa, że finansowany winien być najtańszy dostępny w Polsce preparat biopodobny infliksymbu.

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Łuszczyca krostkowa uogólniona jest chorobą rzadką, występującą 100 razy rzadziej od łuszczycy zwyczajnej. Średnia wieku osób chorych to 34-59 lat. Choroba występuje równie często u kobiet i u mężczyzn. Bardzo rzadko występuje u dzieci (w literaturze opisano kilka przypadków). Według portalu orpha.net łuszczyca krostkowa uogólniona występuje u 1-9/1 000 000 osób.

Zgodnie z dodatkowymi informacjami przedstawionymi w zleceniu Ministra Zdrowia, wcześniejsze leczenie obejmowało terapie z zastosowaniem: PUVA (zła tolerancja), a także cyklosporyny, acytretyny oraz acytretyny w skojarzeniu z metotreksatem (brak skuteczności).

Zgodnie z aktualnie obowiązującym Obwieszczeniem MZ z dnia 20 grudnia 2019r. produkt leczniczy Zessly jest refundowany w ramach 6 programów lekowych, w tym m.in. B.47. „Leczenie umiarkowanej i ciężkiej postaci łuszczycy plackowatej (ICD-10: L.40.0)”.

Produkt Zessly, a także inne produkty zawierające infliksymb, nie są zarejestrowane w leczeniu łuszczycy krostkowej uogólnionej, tym samym wnioskowane wskazanie dla produktu Zessly stanowi wskazanie off-label



Skuteczność kliniczna i praktyczna

Infliksymab jest antagonistą czynnika martwicy nowotworów – α (TNF- α) i jest jednym z najlepiej przebadanych leków biologicznych stosowanych w leczeniu łuszczycy krostkowej uogólnionej.

W badaniach zakwalifikowanych do przeglądu infliksymab stosowany był w dawce od 3 do 5 mg/kg masy ciała. W każdym badaniu stwierdzono poprawę stanu zdrowia pacjentów po zastosowanym leczeniu infliksymabem.

Bezpieczeństwo stosowania

W czasie leczenia infliksymabem zgłaszano zdarzenia niepożądane, wśród których najczęściej wystąpiły: ból głowy, biegunka, wysypka, zapalenie gardła, nieżyt nosa, kaszel, zakażenie górnych dróg oddechowych i zakażenie dróg moczowych. Ciężkie zdarzenia niepożądane wystąpiły rzadko i były nimi: nawrót gruźlicy, aseptyczne zapalenie opon mózgowo-rdzeniowych, posocznica, rozwój autooprzeciwciał przeciw dwuniciowemu DNA i toczeń układowy.

Ze względu na fakt, że większość włączonych badań raportuje poprawę po pierwszych 24-72 godzinach od infuzji infliksymabu, można wnioskować, że infliksymab jest skuteczny i dobrze tolerowany w leczeniu łuszczycy krostkowej uogólnionej.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Produkt Zessly oraz inne produkty zawierające infliksymab dopuszczone do obrotu na terenie Unii Europejskiej nie zostały zarejestrowane do leczenia łuszczycy krostkowej uogólnionej, stąd brak jest oceny relacji korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania przeprowadzonej przez Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP, ang. Committee on Medicinal Products for Human Use) Europejskiej Agencji Leków.

W opinii eksperta zastosowanie infliksymabu w leczeniu łuszczycy krostkowej uogólnionej daje możliwość uzyskania trwałej remisji i powrót do zdrowia.

Konkurencyjność cenowa

Koszt brutto 3-miesięcznej terapii lekiem Zessly, podany w zleceniu MZ, wynosi [REDAKTOWANE], a oszacowana cena brutto opakowania jednostkowego wynosi [REDAKTOWANE] i jest [REDAKTOWANE] od ceny widniejącej na aktualnym Obwieszczeniu MZ o [REDAKTOWANE] (cena hurtowa brutto produktu leczniczego Zessly wg Obwieszczenia MZ z dnia 20 grudnia 2019 r. to 850,50 zł).

Z uwagi na brak ustalonego dawkowania poszczególnych komparatorów (adalimumabu, etanerceptu, iksekizumabu, ustekinumabu, sekukinumabu, brodalumabu) w łuszczycy krostkowej uogólnionej, w ramach obliczeń przyjęto schemat dawkowania jak dla łuszczycy plackowatej, zgodnie z informacjami z charakterystyk produktów leczniczych zawierających powyższe substancje czynne.

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

Wg eksperta populacja docelowa obejmuje około 5-15 chorych. Koszt 3-miesięcznej terapii infliksymabem całej populacji pacjentów wyniesie w zależności od liczby chorych włączonych do terapii pomiędzy [REDACTED]

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

Łuszczyca krostkowa uogólniona jest rzadką odmianą łuszczycy. Schematy leczenia łuszczycy krostkowej uogólnionej nie są ugruntowane, a większość wytycznych odnosi się do typów łuszczycy o częstszym występowaniu, takich jak łuszczyca plackowata. Brytyjskie wytyczne z 2017 r. wskazują, że u pacjentów z łuszczycą krostkową należy zastosować acytretynę. Wytyczne Polskiego Towarzystwa Dermatologicznego z 2018 roku również wskazują, że acytretyna jest leczeniem z wyboru u pacjentów z łuszczycą krostkową uogólnioną. Ponadto wytyczne PTD 2018 wskazują, że w najcięższych przypadkach łuszczycy krostkowej uogólnionej należy zastosować doraźnie glikokortykosteroidy.

Jedynie wytyczne American Academy of Dermatology i National Psoriasis Foundation z 2019 r. odnoszą się do możliwości zastosowania leków biologicznych w leczeniu łuszczycy krostkowej uogólnionej. Wytyczne AAD-NPF 2019 wskazują, że w przypadku gdy standardowe leczenie jest niewystraczające w umiarkowanej do ciężkiej łuszczycy, korzyści może przynieść zastosowanie leczenia biologicznego. Wśród leków biologicznych zalecanych do stosowania w leczeniu łuszczycy krostkowej uogólnionej wymieniane są: etanercept (siła rekomendacji B), infliksymab (siła rekomendacji C), adalimumab (siła rekomendacji B), ustekinumab (siła rekomendacji C), iksekizumab (siła rekomendacji B) i brodalumab (siła rekomendacji B). Ponadto w wytycznych wymieniony jest również sekukinumab, jako lek skuteczny w leczeniu uogólnionej łuszczycy krostkowej, jednakże nie został on ujęty w głównej części rekomendacji i nie ma przydzielonej siły rekomendacji.

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 nr: OT.422.8.2020 „Zessly (infliksymab) we wskazaniu: łuszczyca krostkowa uogólniona (ICD-10: L40.1)”. Data ukończenia: 12 lutego 2020 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Sandoz GmbH o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

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

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

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Sandoz GmbH.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 33/2020 z dnia 17 lutego 2020 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną chloroquinum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego tj. porfirie skórna późna

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną chloroquinum we wskazaniach pozarejestacyjnych: choroby autoimmunizacyjne inne niż określone w ChPL - porfirie skórna późna.

Uzasadnienie

Skuteczność i bezpieczeństwo stosowania chlorochiny w chorobach autoimmunizacyjnych innych niż określone w ChPL i porfirii skórnej późnej (PCT) potwierdzają zarówno badania naukowe, jak i wieloletnia praktyka kliniczna. Ostatni raz zbyła oceniana przez Radę Przejrzystości w roku 2017 i Rada w uchwale nr 74/2017 z dnia 20 marca 2017 ponownie pozytywnie zaopiniowała dalszą refundację leku w ww. wskazaniach.

Wcześniej chlorochina w ww. wskazaniach była już przedmiotem oceny Agencji: „Chlorochina, metformina, wenlafaksyna w wybranych wskazaniach pozarejestacyjnych” w 2015 r., „Chlorochina w wybranych wskazaniach pozarejestacyjnych” w 2014 r. oraz „Azatiopryna, chlorochina, cyklofosfamid, metotreksat, prednizon, prednizolon, sulfasalazyna i takrolimus w leczeniu chorób autoimmunizacyjnych” w 2013 r. Na ich podstawie Rada Przejrzystości dotychczas kilkakrotnie wydawała pozytywną opinię w zakresie finansowania chlorochiny w leczeniu porfirii skórnej późnej oraz chorób autoimmunizacyjnych innych niż określonych ChPL.

Od 2017 roku nie zmienił się stan wiedzy dotyczący zastosowania leku w ww. wskazaniach. Opublikowano jedynie 1 wytyczne ISG-EHCV w 2017 r, w których lek ten znalazł się w standardzie postępowania z chorymi na PCT oprócz unikania ekspozycji na światło czy flebotomii.

W odniesieniu do chorób autoimmunizacyjnych innych niż określonych w ChPL opublikowano od 2017 roku 2 wytyczne praktyki klinicznej, w których lek ten jest jedną z opcji leczenia chorych z twardziną miejscową (po niepowodzeniu



standardowej terapii lub przeciwwskazaniami do niej- EDF 2018) i alternatywą do sterydoterapii liszaja płaskiego.

Również metaanaliza z 2018 (Salameh H) wskazuje na kloniczną wartość tej terapii w PCT, porównywalną z flebotomią, chociaż autor wskazuje na celowość przeprowadzenia badania prospektywnego, celem jednoznacznego określenia nawrotów PCT po uzyskaniu klinicznej i biochemicznej remisji choroby (obecne szacunki w niejednorodnych badaniach to 5-17 na 100 osobołat).

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 784 z późn. zm.), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 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 aneksu do raportu nr: BOR.434.1.2017 „Chlorochina w wybranych wskazaniach pozarejestacyjnych”. Data ukończenia: 7 lutego 2020 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 34/2020 z dnia 17 lutego 2020 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną metforminum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego tj. zespoły insulinooporności w przypadkach innych niż w przebiegu cukrzycy

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną metforminum we wskazaniach pozarejestacyjnych: zespoły insulinooporności w przypadkach innych niż w przebiegu cukrzycy.

Uzasadnienie

Rada Przejrzystości trzykrotnie – w latach 2013, 2015 i 2017 uznała za zasadną refundację leków zawierających metforminę we wskazaniach, dawkowaniu lub sposobie podawania odmiennych od określonych w Charakterystyce Produktu Leczniczego. Opinia z 2017 była uzasadniona tym, iż skuteczność i bezpieczeństwo stosowania metforminy w zespole insulinooporności w przypadkach innych niż w przebiegu cukrzycy potwierdzają zarówno badania naukowe, jak i wieloletnia praktyka kliniczna oraz opinie powołanych ekspertów. Ponadto zwrócono uwagę na to, iż wzrastająca liczba przypadków insulinooporności powoduje zwiększenie ryzyka dalszych poważnych zaburzeń metabolicznych (otyłości, cukrzycy, nadciśnienia tętniczego lub choroby wieńcowej). Zdaniem ekspertów upoważnia to do wsparcia farmaceutycznego, w którym metformina odgrywa znaczącą rolę.

Analiza publikacji, które pojawiły się po ostatniej opinii Rady nie wskazuje na potrzebę zmiany stanowiska Rady. W przeglądzie systematycznym z 2020 r. autorstwa Mantovaniego i wsp. metformina wykazywała niewielki korzystny wpływ na stłuszczenie wątroby i stany zapalne. Powodowała też znaczne zmniejszenie poziomów aminotransferaz w surowicy, szczególnie alaninowej u pacjentów ze stłuszczeniem wątroby.

Przegląd systematyczny badań wpływu metforminy na guzki tarczycy autorstwa He i wsp. z 2019 r. wskazuje, iż u pacjentów z guzkami tarczycy i opornością



na insulinę indukuje ona zmniejszanie się wielkości guzków, obniża poziom hormonu TSH oraz wskaźnika insulino-oporności HOMA-IR.

Z kolei przegląd Sun 2019 dotyczący efektów metforminy u otyłych dzieci i młodzieży wskazuje na przejściowość korzystnych efektów. Gdy metforminę podawano krócej niż 6 mies., wykazano znamiennej statystycznie redukcję poziomu glukozy na czczo [MD= -3,59 (95%CI: -5,70; -1,48)]. Ale gdy podawano ją 6 mies. lub dłużej różnice nie były już znamienne [MD= 0,89 (95%CI: -0,95; 2,74)]. Stwierdzono natomiast, iż w porównaniu do placebo stosowanie metforminy łącznie ze zmianą stylu życia znamienne zmniejsza poziom insuliny na czczo [MD = -2,83 (95%CI: -4,32; -1,34); a także obniża poziom cholesterolu LDL [MD = -4,29 (95%CI: -7,45; -1,12)].

W badaniu Syngelaki 2016 wykazano, iż u kobiet z insulino-opornością w okresie przed lub podczas ciąży metformina zmniejsza ryzyko wystąpienia stanu przedrzucawkowego [RR=0,26 (95%CI: 0,11; 0,64)] oraz wiąże się z mniejszym przyrostem masy ciała 4,28 vs 6,3 [MD= -0,92 (95%CI: -1,12; -0,71)].

Bezpieczeństwo

W związku z medialnymi doniesieniami o szkodliwych zanieczyszczeniach w lekach przeciwcukrzycowych Europejska Agencja Leków (EMA) 6 grudnia 2019 r. wydała komunikat, w którym stwierdziła, iż jest świadoma znalezienia w nielicznych lekach zawierających metforminę, wytwarzanych poza Unią Europejską śladowych ilości N-nitrozodimetyloaminę (NDMA). Obserwowane poziomy zanieczyszczeń NDMA są bardzo niskie i są zbliżone lub nawet niższe od poziomu ekspozycji z innych źródeł, włączając w to żywność i wodę. Obecnie nie ma danych wskazujących, że problem ten dotyczy leków zawierających metforminę dopuszczonych do obrotu na terenie Unii Europejskiej. Pacjenci w Unii powinni kontynuować przyjmowanie metforminy jak dotychczas. Ryzyko wynikające z braku odpowiedniego leczenia cukrzycy znacznie przewyższa wszelkie możliwe skutki niskich poziomów NDMA obserwowanych w badaniach.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 784 z późn. zm.), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 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 aneksu do raportu nr: BOR.434.2.2017 „Metforminum w wybranych wskazaniach pozarejestacyjnych”. Data ukończenia: 3 lutego 2020 r



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 35/2020 z dnia 17 lutego 2020 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną venlafaxinum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego tj. bólowa polineuropatia cukrzycowa

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną venlafaxinum we wskazaniach pozarejestacyjnych: bólowa polineuropatia cukrzycowa.

Uzasadnienie

Zasadność finansowania ze środków publicznych produktów leczniczych zawierających substancję czynną venlafaxinum we wskazaniu bólowa polineuropatia cukrzycowa było już oceniane przez Radę Przejrzystości w 2013 i w 2015 roku. Opinie Rady były pozytywne. Na potrzeby bieżącego zlecenia dokonano aktualizacji danych naukowych dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa wenlafaksyny we wnioskowanym wskazaniu pozarejestacyjnym. Zidentyfikowano 5 najnowszych wytycznych praktyki klinicznej dotyczących postępowania terapeutycznego w terapii neuropatii cukrzycowej (ADA 2020, ICSI 2019, DC 2018, NICE 2019 i PTD 2019). Wenlafaksyna jest wymieniana jako opcja leczenia bólu neuropatycznego we wszystkich wytycznych przy czym w zaleceniach NICE 2019 zaznaczono, iż nie należy rozpoczynać terapii bólu neuropatycznego od m.in. wenlafaksyny w warunkach niespecjalistycznych. Ponadto w najnowszych przeglądach systematycznych (Riediger 2017, Trouvin 2017 i Waldfogel 2017) wykazano, że wenlafaksyna jest lekiem o potwierdzonej skuteczności i bezpieczeństwie w leczeniu objawowym neuropatii cukrzycowej.

Nie zidentyfikowano nowych danych dotyczących profilu bezpieczeństwa wenlafaksyny.



Podsumowując, dostępne dowody naukowe uzasadniają kontynuowanie stosowania wenlafaksyny w proponowanym wskazaniu pozarejestacyjnym.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 784 z późn. zm.), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 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 aneksu do raportu nr: BOR.434.3.2017 „Wenlafaksyna w wybranych wskazaniach pozarejestacyjnych”. Data ukończenia: 11 lutego 2020 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 18/2020 z dnia 17 lutego 2020 roku
w sprawie zasadności kwalifikacji świadczenia opieki zdrowotnej
„Profil ekspresji genów GEP (Gene Expression Profiling) – różne
zestawy diagnostyczne dedykowane poszczególnym nowotworom”
jako świadczenia gwarantowanego

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „Profil ekspresji genów GEP (Gene Expression Profiling) – różne zestawy diagnostyczne dedykowane poszczególnym nowotworom” jako świadczenia gwarantowanego w ramach ambulatoryjnej opieki specjalistycznej.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Według danych Krajowego Rejestru Nowotworów zgony z powodu nowotworów są drugą według kolejności przyczyną wszystkich zgonów w Polsce. Diagnostyka genetyczna w chorobach nowotworowych umożliwia przede wszystkim różnicowanie nowotworów, kwalifikację pacjentów do odpowiedniej terapii oraz monitorowanie przebiegu procesu leczenia. Profilowanie ekspresji genów (gene expression profiling – GEP) w chorobach nowotworowych jest badaniem laboratoryjnym próbki tkanki nowotworowej, mającym na celu stworzenie pełnego i całkowicie indywidualnego opisu statusu tej tkanki u danego pacjenta na poziomie molekularnym. Określenie profilu ekspresji genów oznacza zarówno cały zestaw badań ekspresji genów, jak również wyselekcjonowaną część, rozpoznawalną dla danego typu tkanki, komórki czy ich czynności. Testy profilowania ekspresji genów mogą mieć charakter diagnostyczny, prognostyczny lub predykcyjny. W praktyce klinicznej technologię GEP wykorzystuje się poprzez zastosowanie odpowiednich dla danego nowotworu oraz wskazania testów diagnostycznych. Zestawy diagnostyczne do profilowania ekspresji genów to gotowe produkty dystrybuowane przez różne firmy, dedykowane poszczególnym nowotworom.

Oceniane świadczenie jest obecnie finansowane w lecznictwie szpitalnym w ramach produktu rozliczeniowego: „zaawansowane badania genetyczne w chorobach nowotworowych”. W świetle raportu AOTMiT świadczenie to jest dostępne również w ambulatoryjnej opiece specjalistycznej (świadczenia



kontraktowane odrębnie) w ramach świadczenia gwarantowanego „Badania metodami biologii molekularnej (PCR i jej modyfikacje, RFLP, SSCP, HD, sekwencjonowanie i inne) dobranymi w zależności od wielkości i rodzaju mutacji” – produkt rozliczeniowy: „kompleksowa diagnostyka genetyczna chorób nowotworowych”.

Dowody naukowe

W wyniku wyszukiwania dowodów naukowych odnaleziono 19 opracowań wtórnych dotyczących skuteczności testów do profilowania ekspresji genów w różnych chorobach nowotworowych (z czego 15 dotyczy raka piersi), opublikowanych w latach 2006-2018. Włączone do analizy przeglądy systematyczne zostały jednak uznane za przeglądy o niskiej lub krytycznie niskiej jakości. Do analizy włączono ponadto dwa badania pierwotne dotyczące szpiczaka mnogiego oraz jedno dotyczące niedrobnokomórkowego raka płuca. W badaniu Hose 2019 wykazano, że zastosowanie testu GEP w porównaniu ze standardową praktyką umożliwia lepsze wyniki w zakresie predykcji przeżycia, pozwalając ocenić i zweryfikować celowość oraz ryzyko dalszego leczenia u pacjentów ze szpiczakiem mnogim. W badaniu Van Laar 2012 wykazano, że zastosowanie testów GEP miało istotną zdolność do przewidywania zarówno przeżycia związanego z chorobą, jak i korzyści z chemioterapii adjuwantowej pacjentów z niedrobnokomórkowym rakiem płuc. Badanie te także mają jednak ograniczenia.

Dokonano ponadto przeglądu badań w toku i ustalono, że prowadzonych jest 159 badań dotyczących oceny zastosowania testów GEP w różnych nowotworach (najwięcej w raku piersi). W Polsce trwa badanie pt. „Genomiczne i proteomiczne profilowanie nowotworów tarczycy za pomocą badań wielkoskalowych dla oceny różnic między podtypami histologicznymi oraz ich kliniczną agresywnością”, realizowane w ramach projektu NCBI R Strategmed, które jest częścią projektu MILESTONE.

Większość odnalezionych rekomendacji i wytycznych praktyki klinicznej dotyczących wykonywania testów GEP odnosi się do raka piersi. W ich świetle profilowanie ekspresji genów ma na celu ustalenie poziomu ryzyka nawrotu nowotworu lub wsparcie decyzji w zakresie zastosowania chemioterapii adjuwantowej. Wytyczne te wskazują, że GEP powinien być stosowany u kobiet z rakiem piersi we wczesnym stadium ER+/ PgR+, bez ekspresji HER2 oraz bez zajęcia węzłów chłonnych lub z zajęciem węzłów 1-3 (m.in. NCCN 2019, ESMO 2019, St Gallen 2019, NICE 2018, ASCO 2017). W odniesieniu do większości pozostałych nowotworów nie zaleca się stosowania GEP w innych sytuacjach niż badania kliniczne. Jedynie w najnowszych rekomendacjach NCCN zaleca się stosowanie klasyfikatora GEP do oceny wyników biopsji aspiracyjnej cienkoigłowej u pacjentów z podejrzeniem nowotworu pęcherzykowego tarczycy, atypii o nieokreślonym znaczeniu lub zmiany pęcherzykowej bliżej nieokreślonej

(2019), a także zaleca się szersze profilowanie molekularne w celu zidentyfikowania rzadkich mutacji w niedrobnokomórkowym raku płuc (2020).

Problem ekonomiczny

W opinii analityków AOTMiT na chwilę obecną dostępnych jest zbyt mało danych, aby móc przeprowadzić wiarygodne oszacowania w ramach analizy ekonomicznej. Odstąpiono wobec tego od przeprowadzenia formalnej analizy ekonomicznej.

W ramach przeglądu opublikowanych analiz ekonomicznych ustalono, że największa liczba tego typu badań (22) dotyczy zastosowania testów GEP w raku piersi we wczesnym stadium zaawansowania ER+, jednakże komparatory były zróżnicowane, co utrudnia wysunięcie jednoznacznych wniosków. W świetle tych badań poszczególne testy (OncotypeDX, MammaPrint, Prosigna, PAM 50, EndoPredict, Blueprint) mogą dostarczyć informacji prognostycznych na temat ryzyka nawrotu. Najczęściej ocenianym testem był Oncotype DX, co do którego wykazano w badaniach wartość prognostyczną i predykcyjną w zakresie korzyści z chemioterapii. Badania Rozier 2013 i KCE 2015 wskazują również na wartość predykcyjną testu Mammaprint. Włączone badania dotyczyły jednak państw o odmiennych niż w Polsce systemach ochrony zdrowia, a w analizach odwoływano się do schematów chemioterapii, które obecnie mogą już nie być stosowane.

W 2018 r. łączny koszt świadczeń kontraktowanych odrębnie w ramach „kompleksowej diagnostyki genetycznej chorób nowotworowych” (zrealizowanych u 30 586 pacjentów) wyniósł 22,35 mln zł. Natomiast koszt realizacji zaawansowanych badań genetycznych w chorobach nowotworowych w ramach leczenia szpitalnego (u 2 414 pacjentów) wyniósł 5,79 mln zł. Z uwagi na organizację systemu raportowania danych nie jest możliwe wydzielenie i odrębne określenie kosztów ocenianego świadczenia wykonywanych w Polsce.

Zgodnie z przedstawionymi w Karcie Problemu Zdrowotnego oszacowaniami dotyczącymi populacji docelowej (minimalnej) wstępne skutki finansowe dla płatnika publicznego zostały oparte na liczbie nowych zachorowań na choroby nowotworowe w Polsce wynoszącej 144 000 osób rocznie. Koszty badania jednego pacjenta oszacowane dla wnioskowanego świadczenia zostały zaś określone na kwotę 3 185 zł. Zgodnie z tymi założeniami określone w Karcie koszty finansowe wynoszą 485,64 mln zł. Karta nie podaje jednak uzasadnienia dla proponowanej wyceny świadczenia. Ceny katalogowe odnalezione dla dostępnych komercyjnie testów przekraczają zaś znacznie wskazany jednostkowy koszt świadczenia i wynoszą od ok. 12 tys. zł.

W raporcie przedstawiono kilka dodatkowych scenariuszy analizy wpływu na budżet. Jeden z nich dotyczy zastosowania testu Oncotype DX

(cena jednostkowa – ok. 18 tys. zł) w predykcji korzyści z chemioterapii uzupełniającej u pacjentek z wczesnym rakiem piersi ER+, HER2-, N0-3. Raportowana w badaniach europejskich redukcja chemioterapii na podstawie wyników oceny genetycznej wynosiła dla populacji brytyjskiej 18,9%, a w populacji pacjentów niemieckich – 22,6%. Jeśli odnieść to do populacji 6485 pacjentów, możliwe byłoby odstępnie od chemioterapii uzupełniającej u 1226-1466 osób. Roczny koszt całkowity badań wyniósłby w takim przypadku ok. 117 mln zł, a oszczędność z redukcji chemioterapii uzupełniającej – od 4,16 do 4,97 mln zł. Inny scenariusz dotyczy zastosowania testu MammaPrint (cena jednostkowa: 14 tys. zł) w predykcji korzyści z chemioterapii uzupełniającej u pacjentek z wczesnym rakiem piersi, N0-3. Do analizy przyjęto 9 820 przypadków rocznie i raportowaną w badaniu niemieckim redukcję chemioterapii wynoszącą 9,3%. Szacowana liczba pacjentów, u których możliwe jest odstępnie od chemioterapii uzupełniającej, to 913 osób. Roczny koszt całkowity badań wyniósłby ok. 137,5 mln zł, a oszczędność – 3,1 mln zł.

Główne argumenty decyzji

Karta Problemu Zdrowotnego nie wskazuje konkretnej techniki badania, ani nie precyzuje nazw zestawów diagnostycznych. Brak jest też określenia szczegółowych kryteriów kwalifikacji (włączenia i wykluczenia) do badania. Jeśli chodzi o populację kwalifikującą się do świadczenia, wskazano liczbę nowych zachorowań na wszystkie choroby nowotworowe jako populację minimalną. Tymczasem nie każdy pacjent onkologiczny musi być badany molekularnie. W oszacowaniu nie podano też źródeł informacji na temat kosztów zestawów diagnostycznych, te zaś są wyraźnie niedoszacowane.

W świetle przeglądu rozwiązań międzynarodowych badania profilowania ekspresji genów są finansowane lub współfinansowane ze środków publicznych w przypadku wczesnego raka piersi w Wielkiej Brytanii, Niemczech, Belgii, Czechach, Holandii, USA i Kanadzie. W USA finansuje się także testy w raku jelita grubego i raku prostaty.

AOTMiT otrzymała 10 opinii od ekspertów klinicznych. W opiniach zwrócono uwagę na niejasny opis świadczenia w Karcie Problemu Zdrowotnego i nieprecyzyjne wskazania. Pięciu ekspertów zaznacza, że brakuje rzetelnych dowodów naukowych wykazujących zasadność stosowania techniki GEP w praktyce klinicznej, a testy te są obecnie przedmiotem badań naukowych, tym samym nie powinny być finansowane ze środków publicznych. Dwóch ekspertów podkreśla, że na obecnym etapie wiedzy procedura powinna być finansowana wyłącznie dla rozpoznania raka piersi, a jeden ekspert wskazuje na raka tarczycy, raka stercza oraz nowotwory tkanki limfatycznej i krwiotwórczej. Podnoszą oni, że profilowanie ekspresji genów może uchronić pacjentów z niskim ryzykiem nawrotu choroby nowotworowej przed zbędną chemioterapią adjuwantową w raku piersi lub niepotrzebnym zabiegiem operacyjnym / suplementacją

hormonów tarczycy u pacjentów z guzkami tarczycy czy też zwiększyć dostępność do ukierunkowanych molekularnie terapii onkologicznych w niedrobnokomórkowym raku płuc. Jednakże eksperci wskazują też na ograniczoną dostępność testów, ich wysoki koszt oraz konieczność ich wykonywania poza granicami kraju.

W opinii Rady powrót do oceny zasadności kwalifikacji przedmiotowego świadczenia jako gwarantowanego w ramach AOS jest możliwy w przyszłości, w razie pojawienia się wysokiej jakości dowodów, do czego jednak niezbędne jest sprecyzowanie wskazań klinicznych stosowania testów GEP oraz określenie rzeczywistych kosztów realizacji tej procedury. Dopiero wówczas możliwe byłoby zaprojektowanie realizacji tego świadczenia w formie pilotażowej.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31c ust. 6 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 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: WS.430.4.2018 „Profil ekspresji genów GEP (Gene Expression Profiling) we wskazaniu: nowotwory”. Data Ukończenia: 10.02.2020 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 36/2020 z dnia 17 lutego 2020 roku
o projekcie programu „Prewencja chorób sercowo-naczyniowych
u pacjentów onkologicznych na lata 2020-2022”
(woj. zachodniopomorskie)

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Prewencja chorób sercowo-naczyniowych u pacjentów onkologicznych na lata 2020-2022” (woj. zachodniopomorskie), pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie analitycznym AOTMiT.

Uzasadnienie

Zaplanowano przeprowadzenie działań informacyjno-promocyjnych, informacyjno-szkoleniowych dla personelu medycznego, kwalifikacji uczestników do programu, działań diagnostyczno-terapeutycznych oraz działań informacyjno-edukacyjnych dla pacjentów. Okresem realizacji planowanych interwencji będą lata 2020-2022. Koszt całkowity programu oszacowano na 3 210 087 zł. Program ma być współfinansowany ze środków Europejskiego Funduszu Społecznego (85% wartości projektu).

Przewidziano 3 ścieżki postępowania, w zależności od zagrożenia kardiotoksycznością i zajęciem serca, z różnymi okresami wizyt kontrolnych i zakresami badań.

Projekt jest zgodny z wytycznymi amerykańskimi (ASCO 2017 i CCS 2016) oraz europejskimi ESMO 2012 i ESC 2016). W wytycznych European Association of Cardiovascular Imaging (EACVI/ASE 2014) oraz ESMO 2012 i ESC 2016 stwierdza się, że echokardiografia jest metodą z wyboru do oceny pacjentów przed, w trakcie i po leczeniu onkologicznym. Dokładne obliczenia frakcji wyrzutowej lewej komory (LVEF) powinno się wykonać za pomocą najlepszej dostępnej metody (USG 3D). Zastosowanie NT-proBNP jest postępowaniem zalecanym, głównie w praktyce pozaonkologicznej. Podwyższony poziom troponin u pacjentów otrzymujących chemioterapię kardiotoksyczną (antracykliny) może stanowić element diagnostyczny w kierunku wczesnego wykrycia kardiotoksyczności.

Na podstawie wytycznych ESMO 2012, ESC 2016 pacjenci otrzymujący antracykliny (ścieżka 1 w programie) i/lub trastuzumab adiuwantowo powinni



mieć wykonywane badania kardiologiczne w 3, 6, 9 miesiącu leczenia oraz w 12 i 18 miesiącu od jego rozpoczęcia. Jest wiele zaleceń, m.in. w przypadku obniżenia się LVEF do <40% należy zaprzestać stosowania chemioterapii i rozważyć alternatywne metody leczenia.

W ramach projektu przewidziano utworzenie zespołu kardioonkologicznego, który będzie podejmował decyzje dotyczące dalszego postępowania z chorym tak, aby nie przerywać leczenia onkologicznego lub maksymalnie skrócić konieczną przerwę oraz będzie wydawał zalecenia odnośnie do dalszego postępowania diagnostyczno-terapeutycznego. Częstotliwość spotkań będzie uzależniona od występowania u pacjentów niepożądanych skutków leczenia onkologicznego (wstępnie oszacowano, że zespół będzie spotykał się raz w miesiącu). Tworzenie zespołów kardioonkologicznych znajduje odzwierciedlenie w wytycznych i rekomendacjach (ESC 2016). Nie jest jednak jasne czy w ramach ocenianego PPZ pacjenci będą leczeni kardiologicznie. Dodatkowe działania diagnostyczne i terapeutyczne będą realizowane w ramach NFZ (np. kardiowersja elektryczna, ablacja zaburzeń rytmu serca, koronarografia).

Zasadność działań edukacyjnych dla pacjentów potwierdzają wytyczne ASCO 2017.

Wnioskodawca określił sposób powiązania działań programu ze świadczeniami zdrowotnymi finansowanymi ze środków publicznych. Dostęp do opieki kardioonkologicznej jest w Polsce utrudniony. Obecnie pacjent może liczyć jedynie na poradnictwo kardiologiczne w ramach ambulatoryjnej opieki specjalistycznej lub na oddziale onkologicznym. Zasadność obejmowania pacjentów onkologicznych oceną ryzyka występowania incydentów sercowo-naczyniowych potwierdzają odnalezione wytyczne oraz wszystkie opinie ekspertów klinicznych.

Oceny jakości świadczeń dokona koordynator programu. W tym celu przygotowana zostanie ankieta satysfakcji, skierowana do uczestników PPZ. Do projektu załączono wzór ankiety, który nie budzi zastrzeżeń.

W treści projektu programu przedstawiono koszty jednostkowe, planowane koszty całkowite oraz źródła finansowania.

W kosztorysie realizacji programu na lata 2020-2022 wyróżniono 7 kategorii planowanych działań wraz z oszacowaniem ich kosztów łącznych. Pierwszą kategorię stanowią koszty działań informacyjno-promocyjnych, oszacowane na 34 500 zł. Kwota ta ma uwzględniać: koszty przygotowania i prowadzenia strony internetowej, koszty artykułów prasowych, audycji radiowych oraz koszty projektu i wydruku plakatów/ulotek. Kolejną kategorią są koszty szkolenia dla personelu medycznego oszacowane na 42 000 zł (2 konferencje naukowe po 15 000 zł każda oraz 6 warsztatów po 2000 zł).

Koszty działań informacyjno-edukacyjnych dla pacjentów wyniosą 99 000 zł. Następnie oszacowano koszt działań diagnostyczno-terapeutycznych na 1 515 880 zł. Na powyższe koszty „składają się konsultacje kardiologiczne, badania diagnostyczne, których rodzaj, ilość i częstotliwość zależna jest od ścieżki postępowania, do której zakwalifikowany został pacjent oraz potrzeby wykonania badań dodatkowych w przypadku konieczności klinicznej na każdym etapie konsultacji kardiologicznych”. Przedstawiono szczegółowe wyliczenia kosztów dla każdej ze ścieżek postępowania oraz badań dodatkowych, które są niewiele niższe od cen rynkowych. Koszty zakupu sprzętu oszacowano na 1 040 000 zł, a koszty monitorowania na 60 000 zł

Wnioskodawca założył, że koszty pośrednie programu wyniosą 418 707 zł, czyli stanowią 15% kosztów bezpośrednich.

Program ma być współfinansowany ze środków Europejskiego Funduszu Społecznego (85% wartości projektu), budżetu państwa (5%) i środków własnych beneficjenta (10%).

Publikacje z badań skuteczności zdrowotnej analogicznego programu profilaktycznego (profilaktyki pierwotnej)

Autorzy metatanalizy Conway 2015 stwierdzili, że nie ma wystarczających dowodów na temat przydatności stosowania biomarkerów w celu określania kardiotoksyczności. Wskazano natomiast kilka strategii postępowania, w celu zmniejszenia kardiotoksyczności., m.in. jednoczesne podawanie deksrazoksanu z antracyklinami. Autorzy metaanalizy na podstawie włączonych przeglądów stwierdzili, że ciągłe podawanie antracyklin w dłuższym horyzoncie czasu (> 6 godzin) powoduje mniejsze ryzyko wystąpienia niekorzystnych zdarzeń sercowych w porównaniu do bolusów leku.

Nowsze badania wskazują na przydatność oznaczania BNP w przewidywaniu i rozpoznawaniu kardiotoksyczności radioterapii i antracyklin (ESC 2016, Zhang C et al. *Medicine -Baltimore* 2019,98e16507; Lu X et al. *Oncol. Letters* 2019, Nov 18 (5):4992).

Ocena zasadności realizacji takiego programu dokonana przez niezależną organizację analizującą wyniki programów profilaktycznych (w tym co najmniej USPSTF, i Cochrane Collaboration)

Brak danych z ww organizacji.

Zasadnicze zastrzeżenia wynikające z badań naukowych

Większość badań objętych programem jest finansowana ze środków publicznych, ale wartością dodaną jest całościowy program, obejmujący szkolenia pacjentów i personelu medycznego oraz utworzenie zespołów kardiologicznych.

Zgodność organizacji proponowanego programu z organizacją programów uznawanych za skuteczne

Niniejszy regionalny program polityki zdrowotnej dotyczy problemu, który nie jest objęty analogicznymi programami opracowywanymi, wdrażanymi, realizowanymi i finansowanymi przez NFZ oraz Ministra właściwego do spraw zdrowia, określonymi w Ustawie o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych

Podobny program województwa wielkopolskiego został przez Radę oceniony pozytywnie z uwagami.

Poziom równości dostępu osób spełniających kryteria włączenia do programu

Rada nie zgłasza zastrzeżeń odnośnie do równego dostępu do programu.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48a ust. 8 pkt 3, w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 3 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.441.198.2019 „Prewencja chorób sercowo-naczyniowych u pacjentów onkologicznych na lata 2020-2022”, data ukończenia: luty 2020 oraz Aneksu do raportów szczegółowych „Programy z zakresu profilaktyki chorób sercowo-naczyniowych – wspólne podstawy oceny” z lutego 2013 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 37/2020 z dnia 17 lutego 2020 roku
o projekcie programu „Wczesne wykrywanie wad wzroku wśród
uczniów pierwszych klas szkół podstawowych na terenie Gminy
Wieluń na lata 2020-2023”

Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Wczesne wykrywanie wad wzroku wśród uczniów pierwszych klas szkół podstawowych na terenie Gminy Wieluń na lata 2020-2023”.

Uzasadnienie

Opiniowany program dotyczy badań przesiewowych wzroku i adresowany jest do dzieci 7-letnich zamieszkujących gminę Wieluń oraz do ich rodziców/opiekunów w zakresie edukacji. Wnioskodawca zakłada objęcie programem 80% populacji docelowej. Badanie okulistyczne, zgodnie z projektem, ma obejmować badanie ostrości wzroku do dali i bliży, badanie ruchomości gałek ocznych, badanie dna oka oraz refrakcji i badanie wady refrakcji refraktometrem po porażeniu akomodacji. Jakkolwiek część towarzystw naukowych a także ekspertów klinicznych zaleca przeprowadzanie programów z zakresu profilaktyki wad wzroku w populacji pediatrycznej to bezpośrednie dowody na skuteczność takich badań pozostają bardzo ograniczone i nie pozwalają na rzetelną odpowiedź na pytanie, czy przeprowadzanie skryningu jest bardziej skuteczne niż jego brak. Nieprawidłowy wynik badania przesiewowego w sposób umiarkowany zwiększa prawdopodobieństwo wykrycia wady. Ponadto, niektóre sposoby leczenia zaburzeń ostrości widzenia (m.in. zastanianie zdrowego oka, okulary) są skuteczne, jednak uzyskiwana w ich wyniku poprawa ostrości widzenia jest niewielka lub średnia. Zdaniem Rady istnieje szereg innych interwencji zdrowotnych dla których dowodu naukowe wskazują na wyraźną korzyść z ich realizacji. Przeznaczenie środków publicznych na interwencje z których korzyść jest dyskusyjna lub niewielka nie znajduje, w tym przypadku, aprobaty Rady.

Tryb wydania opinii



Opinię wydano na podstawie art. 48a ust. 8 pkt 3, w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 3 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.441.200.2019 „Wczesne wykrywanie wad wzroku wśród uczniów pierwszych klas szkół podstawowych na terenie Gminy Wieluń na lata 2020-2023”, data ukończenia: luty 2020 oraz Aneksu do raportów szczegółowych „Programy z zakresu profilaktyki i korekcji wad wzroku oraz chorób oczu u dzieci – wspólne podstawy oceny” z sierpnia 2017.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 38/2020 z dnia 17 lutego 2020 roku

o projekcie programu „Program wczesnego wykrywania wad słuchu i wzroku wśród dzieci i młodzieży w gminie Walce na lata 2020-2022”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program wczesnego wykrywania wad słuchu i wzroku wśród dzieci i młodzieży w gminie Walce na lata 2020-2022”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT

Uzasadnienie

Przedmiotem opinii Rady jest projekt PPZ gminy Walce dot. wczesnego wykrywania wad wzroku i słuchu skierowany do dzieci uczęszczających do klas I i VI szkoły podstawowej. Założenie przedstawione przez wnioskodawcę składa się z dwóch odrębnych celów: wyselekcjonowane dzieci zostaną poddane dalszym badaniom słuchu i wzroku wykonywanym przez okulistę, drugi cel zakłada działania edukacyjne. Autorzy projektu winni mieć świadomość, że jakkolwiek część towarzystw naukowych a także ekspertów klinicznych zaleca przeprowadzanie programów z zakresu profilaktyki wad wzroku w populacji pediatrycznej to bezpośrednie dowody na skuteczność takich badań pozostają bardzo ograniczone i nie pozwalają na rzetelną odpowiedź na pytanie, czy przeprowadzanie skryningu jest bardziej skuteczne niż jego brak. Nieprawidłowy wynik badania przesiewowego w sposób umiarkowany zwiększa prawdopodobieństwo wykrycia wady. Ponadto, niektóre sposoby leczenia zaburzeń ostrości widzenia (m.in. zasłanianie zdrowego oka, okulary) są skuteczne, jednak uzyskiwana w ich wyniku poprawa ostrości widzenia jest niewielka lub średnia. Mniejsze kontrowersje budzi zasadność wykrywania zaburzeń słuchu u dzieci w wieku szkolnym. Nieleczony ubytek słuchu może mieć negatywny wpływ na rozwój mowy, języka oraz rozwój kognitywny, a w następstwie na osiągnięcia w nauce. Zdaniem Rady realizatorzy programu powinni właściwie wyważyć proporcje wydatkując środki publiczne na wczesne wykrywanie wad słuchu i wzroku, zważywszy, że zasadność drugiej z tych interwencji (wykrywanie wad wzroku) budzi wiele kontrowersji i wątpliwości co do skuteczności takiego postępowania.



Autorzy powinni, ponadto, odnieść się do szczegółowych uwag dotyczących programu, które zawiera raport AOTMiT.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48a ust. 8 pkt 3, w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 3 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.441.201.2019 „Program wczesnego wykrywania wad słuchu i wzroku wśród dzieci i młodzieży w gminie Walce na lata 2020-2022”, data ukończenia: luty 2020 oraz Aneksów do raportów szczegółowych „Programy z zakresu profilaktyki i korekcji wad wzroku oraz chorób oczu u dzieci – wspólne podstawy oceny” z sierpnia 2017 oraz „Badania przesiewowe słuchu u dzieci w wieku szkolnym – wspólne podstawy oceny” z września 2016 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości nr 39/2020 z dnia 17 lutego 2020 roku o projekcie programu „Program przeciwdziałania wadom postawy u dzieci w gminie Walce na lata 2020-2022”

Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program przeciwdziałania wadom postawy u dzieci w gminie Walce na lata 2020-2022”.

Uzasadnienie

Uczestnikami PPZ są dzieci uczęszczające do klas I szkół podstawowych z terenu gminy Walce (ok. 50 uczniów rocznie) i dotyczy problemu zdrowotnego jakim są wady postawy wśród dzieci w wieku szkolnym oraz priorytetu zdrowotnego: „tworzenie warunków sprzyjających utrzymaniu i poprawie zdrowia w środowisku nauki, pracy i zamieszkania”, należący do priorytetów zdrowotnych wymienionych w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dn. 27 lutego 2018 r. (Dz.U. 2018 poz. 469). Założona przez wnioskodawcę populacja docelowa (dzieci 7-letnie) nie znajduje odzwierciedlenia w rekomendacjach, dowodach naukowych ani opiniach ekspertów.

Program ma być realizowany w latach 2020-2022, nie posiada celu głównego, gdyż sformułowano go pod postacią działań. Dodatkowo program zawiera 6 celów szczegółowych, tj.: (1) „zapobieganie powstawaniu wad postawy”, (2) „zapobieganie pogłębianiu się wad postawy”, (3) „kształtowanie nawyków prawidłowej postawy ciała u dzieci”, (4) „zwiększanie aktywności fizycznej wśród dzieci”, (5) „szerzenie edukacji zdrowotnej w zakresie chorób kręgosłupa, nadwagi, płaskostopia” oraz (6) „zwiększenie dostępności do ćwiczeń leczniczych”, do których nie sformułowano mierników. Zaplanowane interwencje, to: badanie przesiewowe (ocena postawy ciała, chodu i równowagi), grupowe i indywidualizowane zajęcia korekcyjne. Brak jest wskazanych narzędzi do oceny. Ponadto w zespole nie wskazano roli pielęgniarki środowiska nauczania i wychowania, która bierze udział w procesie wykrywania wad postawy. Autorzy programu nie wyjaśnili w jaki sposób edukacja miałaby wpłynąć korzystnie na wady postawy. Przeprowadzenie kampanii informacyjnej wpisano co prawda do interwencji, lecz jak wskazują badania tego rodzaju interwencje powinny być indywidualizowane i dostosowane do potrzeb oraz prowadzone w liczbie, jaka jest niezbędna i odpowiada statusowi zdrowotnemu.



Innym zagadnieniem jest budżet, w którym nie przedstawiono kosztu jednostkowego na jednego pacjenta. Także ewaluacja nie została właściwie zaplanowana. Co ważne, nie wskazano sposobu wyboru realizatora.

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. 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 ust. 8 pkt 3, w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 3 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.441.202.2019 „Program przeciwdziałania wadom postawy u dzieci w gminie Walce na lata 2020-2022”, data ukończenia: luty 2020 oraz Aneksu do raportów szczegółowych „Programy profilaktyki i korekcji wad postawy u dzieci – wspólne podstawy oceny” z marca 2018 r.