



BP.401.13.2020.MKZ

**Protokół nr 11/2020**  
**z posiedzenia Rady Przejrzystości**  
**w dniu 16 marca 2020 roku**  
**w siedzibie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (Agencji)**

Michał Myśliwiec otworzył posiedzenie o godzinie 10:01

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

1. Barbara Jaworska-Łuczak
2. Tomasz Młynarski
3. Michał Myśliwiec – prowadził posiedzenie zdalnie
4. Rafał Niżankowski - zdalnie
5. Jakub Pawlikowski – zdalnie
6. Rafał Suwiński - zdalnie
7. Piotr Szymański
8. Janusz Szyndler

Członkowie Rady nieobecni na posiedzeniu:

1. Artur Zaczyński

Proponowany porządek obrad:

1. Ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację sprowadzanego z zagranicy w ramach importu docelowego, leku Calcort (deflazakort) we wskazaniu: stan po przeszczepie nerki, autoimmunologiczne zapalenie wątroby, zespół nerczycowy, zmiany śródmiąższowe w płucach.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację sprowadzanego z zagranicy w ramach importu docelowego, leku Nuedexta (dextromethorphanii hydrobromidum quinidini sulfas) we wskazaniach: zespół opuszkowo-rzekomooopuszkowy w przebiegu stwardnienia zanikowego bocznego; zespół rzekomooopuszkowy w przebiegu choroby neuronu ruchowego.
4. Przygotowanie opinii o projektach programów polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego:
  - 1) „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców gminy Chociwel na lata 2020-2024”,



- 2) „Program profilaktyki chorób piersi i gruczołu sutkowego u kobiet zamieszkujących Miasto Zielonka na lata 2020-2022”,
  - 3) „Program polityki zdrowotnej leczenia niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego dla mieszkańców Gminy Kielce”.
5. Losowanie składu Zespołów na kolejne posiedzenia Rady.
  6. Zakończenie posiedzenia.

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

Rada jednogłośnie (8 głosów „za”) zatwierdziła proponowany porządek obrad.

**Ad 2.** Analityk Agencji podsumował dane z raportu dla leku Calcort (import docelowy) we wskazaniach: stan po przeszczepie nerki, autoimmunologiczne zapalenie wątroby, zespół nerczycowy, zmiany śródmiąższowe w płucach.

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

Propozycję stanowiska Rady przedstawił Maciej Karaszewski.

W dyskusji i formułowaniu finalnej wersji stanowiska głos zabrali Michał Myśliwiec i Maciej Karaszewski, po czym Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 5 głosami „za”, przy 4 głosach „przeciw” (9 osób obecnych) uchwaliła stanowisko (załącznik nr 1 do protokołu).

**Ad 3.** Analityk Agencji omówił najważniejsze informacje z raportu dla leku Nuedexta (import docelowy) we wskazaniach: zespół opuszkowo-rzekomooopuszkowy w przebiegu stwardnienia zanikowego bocznego; zespół rzekomooopuszkowy w przebiegu choroby neuronu ruchowego, a propozycję stanowiska Rady przedstawił Janusz Szyndler.

W dyskusji głos zabrali: Piotr Szymański, Janusz Szyndler, Maciej Karaszewski oraz Michał Myśliwiec, po czym Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 8 głosami „za”, przy 1 głosie „przeciw” (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 2 do protokołu).

**Ad 4 1)** Analityk Agencji omówił program polityki zdrowotnej gminy Chociwel w zakresie rehabilitacji leczniczej, a propozycję opinii Rady przedstawił Jakub Pawlikowski.

Wobec braku innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 3 do protokołu).

**2)** Analityk Agencji omówił program polityki zdrowotnej miasta Zielonka w zakresie profilaktyki chorób piersi i gruczołu sutkowego u kobiet, a propozycję opinii Rady przedstawił Rafał Suwiński.

Wobec braku innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 głosów „za”) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 4 do protokołu).

**3)** Analityk Agencji omówił program polityki zdrowotnej gminy Kielce w zakresie zapłodnienia pozaustrojowego, a propozycję opinii Rady przedstawił Tomasz Młynarski.

Głos zabrał Jakub Pawlikowski, po czym Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 7 głosami „za”, przy 2 głosach „przeciw” (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 5 do protokołu).

**Ad 5.** Nie przeprowadzono losowania składu Zespołu na kolejne posiedzenie Rady.

**Ad 6.** Prowadzący zakończył posiedzenie się o godzinie 11:31.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezecie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 23/2020 z dnia 16 marca 2020 roku

w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku Calcort (deflazakort) we wskazaniach: stan po przeszczepie nerki, autoimmunologiczne zapalenie wątroby, zespół nerczycowy, zmiany śródmiąższowe w płucach

*Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne wydawanie zgód na refundację leku Calcort (deflazakort), tabletki à 6 mg i 30 mg, we wskazaniach: stan po przeszczepie nerki po okresie pokwitania, autoimmunologiczne zapalenie wątroby, zespół nerczycowy, zmiany śródmiąższowe w płucach.*

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację leków we wskazaniu: stan po przeszczepie nerki u dzieci przed okresem pokwitania.*

#### Uzasadnienie

##### Problem decyzyjny

*Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy zbadanie zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego: Calcort (deflazakort), tabletki à 6 mg i 30 mg; we wskazaniach: stan po przeszczepieniu nerki, autoimmunologiczne zapalenie wątroby, zespół nerczycowy, zmiany śródmiąższowe w płucach, sprowadzanego z zagranicy zgodnie z art. 4 ustawy z dnia 6 września 2001 r. Prawo farmaceutyczne (Dz.U. z 2019 r., poz. 499 z późn. zm.). Deflazakort jest pochodną prednizolonu i wykazuje działanie przeciwzapalne i immunosupresyjne.*

*Stosowany jest w leczeniu różnych chorób i porównywalny z innymi steroidami przeciwzapalnymi.*

*Produkt leczniczy Calcort (deflazakort) był oceniany przez Agencję:*

*1) w 2013 roku we wskazaniu zespół nerczycowy:*

- Rada Przejrzystości (stanowisko nr 56/2013 z dnia 25 marca 2013 r.) uznała za niezasadne wydanie zgody na refundację produktu Calcort, w ww. wskazaniu, gdyż „nie wykazano przekonujących i klinicznie istotnych różnic ani w efektywności, ani w działaniach niepożądanych deflazakortu w porównaniu z innymi GSK”.*



- Prezes AOTMiT (rekomendacja nr 37/2013 z dnia 25 marca 2013 r.) nie rekomendował wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Calcort w ww. wskazaniu.
- 2) w 2016 roku we wskazaniu choroba śródmiąższowa płuc:
- Rada Przejrzystości (stanowisko nr 95/2016 z dnia 29 sierpnia 2016 r.) uznała za niezasadne wydawanie zgody na refundację leku Calcort (deflazacort), tabletki 6 mg i 30 mg, sprowadzanego zgodnie z art. 4 ustawy z dnia 6 września 2001 r, prawo farmaceutyczne (Dz.U. z 2008 r., Nr 45, poz. 271, z późn. zm.), we wskazaniu choroba śródmiąższowa płuc, przy założeniu, że wykorzystano u pacjenta dostępne alternatywne metody leczenia lub istnieją przeciwwskazania do prowadzenia terapii z użyciem takich metod. Uzasadnieniem jest fakt, iż w chorobach śródmiąższowych płuc (obejmujących bardzo liczne jednostki chorobowe) pozycja glikokortykosteroidów jest zróżnicowana (np. w idiopatycznym włóknieniu płuc są przeciwwskazane), ponadto brak jest opublikowanych badań dotyczących stosowania deflazakortu w leczeniu chorób śródmiąższowych płuc.
  - Prezes AOTMiT (rekomendacja nr 56/2016 z dnia 6 września 2016 r.) nie rekomendował wydawania zgód na refundację leku Calcort (deflazacort) we wskazaniu „choroba śródmiąższowa płuc”.

#### Dowody naukowe

##### **1. Stan po przeszczepieniu nerki (ICD-10: Z94.0)**

Rekomendacje i wytyczne kliniczne odnoszą się ogólnie do stosowania glikokortykosteroidów, a wskazywane są przede wszystkim prednizon i metyloprednizolon. W żadnych odnalezionych wytycznych (europejskie EAU 2019, polskie PTT 2018, brytyjskie NICE 2017, NICE 2017\_2 oraz BTS 2017) nie wskazano deflazakortu jako zalecanego w tym wskazaniu.

W wyniku wyszukiwania znaleziono 4 badania RCT: Ferraris 2007, Kim 1998, Lippuner 1998, Elli 1993;

Do badania Ferraris 2007 zakwalifikowano:

- pacjentów w okresie przed pokwitaniem,
- co najmniej 6 miesięcy po przeszczepie nerki,
- stabilna funkcja przeszczepu przez co najmniej 6 miesięcy,
- bez leczenia obniżającego stężenie lipidów.

Analiza post hoc wykazała, że we wszystkich przedziałach czasowych zaobserwowano znaczny spadek SDS (wpływ czasu na wynik odchylenia standardowego) wzrostu pacjenta w grupie metyloprednizonu (MPRD), podczas gdy spadek ten był widoczny dopiero po 3 latach w grupie deflazakortu (DFL).

Analiza post hoc wykazała, że wzrost masy tłuszczowej był znaczący tylko w grupie MPRD po 3 latach.

Masa ciała zwiększyła się w czasie od wartości początkowej w obu grupach ( $p < 0,0001$ ). Dwukierunkowa analiza ANOVA wykazała również znaczącą interakcję między leczeniem deflazakortem i beztłuszczową masą ciała ( $p < 0,0001$ ), wskazując, że przyrost w czasie był większy w grupie DFL.

BMI SDS nie różniło się istotnie między grupami. Jednak liczba pacjentów z nadwagą była znacznie zwiększona w grupie metyloprednizonu.

Ponadto, analiza wykazała znaczący wzrost szybkości wzrastania (cm/rok i SDS) w pierwszym roku dla grupy DFL, podczas gdy w grupie MPRD zaobserwowano znaczący spadek szybkości wzrastania po 2 latach. Dlatego, po 3 latach pacjenci przyjmujący DFL zyskali  $13,3 \pm 1,3$  cm, a pacjenci otrzymujący MPRD  $8,4 \pm 0,8$  cm ( $p < 0,01$ ). Analiza post hoc wykazała znaczny wzrost całkowitego cholesterolu w grupie metyloprednizonu, podczas gdy w grupie deflazakortu zaobserwowano jego znaczący spadek po 3 latach leczenia.

Analiza post hoc wykazała znaczny spadek BMD kręgosłupa lędźwiowego i całkowitego BMD szkieletu w grupie MPRD w prawie wszystkich przedziałach czasowych, podczas gdy w grupie DFL spadek ten był widoczny dopiero po 3 latach leczenia.

Analiza post hoc wykazała znaczny spadek glukozy w surowicy w grupie MPRD we wszystkich przedziałach czasowych, podczas gdy w grupie DFL spadek ten był widoczny dopiero po 3 latach leczenia.

W pozostałych badaniach, prowadzonych na grupach pacjentów dorosłych, różnice znamienne statystycznie dotyczyły mniejszego przyrostu masy ciała i mniejszej utraty gęstości kości przy stosowaniu DFL w stosunku do MPRD.

## **2. Autoimmunologiczne zapalenie wątroby (ICD-10: K73.2)**

Rekomendacje i wytyczne kliniczne wskazują na stosowanie w leczeniu inicjującym autoimmunologicznego zapalenia wątroby prednizonu lub prednizolonu w połączeniu z azatiopryną, a w leczeniu podtrzymującym samej azatiopryny lub w połączeniu z niewielkimi dawkami prednizonu, w zależności od stanu klinicznego pacjenta. (AASLD 2010 USA, EASL 2015 Europa, HSG 2019 Grecja, BSG 2010 Wielka Brytania). Jedynie w wytycznych brytyjskich wskazano na możliwość stosowania deflazakortu w połączeniu z innymi lekami immunosupresyjnymi w przypadku braku odpowiedzi na podstawowe leczenie (dowody o niskiej jakości).

Znaleziono 1 badanie kliniczne, otwarte (Rebollo-Bernardez 1999), które wskazało na brak różnic w punktach końcowych pomiędzy prednizonem a deflazakortem.

## **3. Zespół nerczycowy (ICD-10: N04)**

Rekomendacje i wytyczne kliniczne wskazują na standardowe leczenie ZN doustnym prednizonem. (SINePe 2017, Włochy, PTNFD 2015, Polska). U pacjentów ze steroidoopornym ZN zamiast prednizonu można stosować różne

GKS (deflazakort, deksametazon, metyloprednizolon) w połączeniu z leczeniem immunosupresyjnym (SINePe 2017, Włochy).

Znaleziono 1 badanie kliniczne dotyczące populacji dzieci, porównujące prednizolon z deflazakortem. Tylko w jednym punkcie: czas do uzyskania remisji  $10,25 \pm 2,41$  dni i  $12,55 \pm 1,44$  dni odpowiednio w grupie DFL i PRD, uzyskano różnicę istotną statystycznie ( $p=0,012$ ). W pozostałych punktach końcowych nie było różnic istotnych statystycznie (Singhal 2015).

#### **4. Choroby śródmiąższowe płuc (ICD-10: J84)**

Brak jest rozstrzygających dowodów naukowych uzasadniających zastosowanie jakiegokolwiek leku. Brak badań klinicznych z zastosowaniem deflazakortu w tym wskazaniu.

##### Problem ekonomiczny

Z uwagi na brak dokładnych danych o populacji docelowej, niemożliwe jest oszacowanie wpływu sfinansowania przedmiotowej technologii w ramach importu docelowego na wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorców.

##### Główne argumenty decyzji

Dotychczasowo wydawane stanowiska Rady Przejrzystości negatywnie oceniały zasadność refundacji deflazakortu we wskazaniu zespół nerczycowy i śródmiąższowe choroby płuc. Nie pojawiły się nowe dowody naukowe odnośnie do skuteczności stosowania DFL w tych wskazaniach.

Nie ma także dowodów na wyższą skuteczność deflazakortu nad terapią standardową (prednizon z azatiopryną) we wskazaniu autoimmunologiczne zapalenie wątroby.

Nie istnieją dowody naukowe na wyższość stosowania, jako elementu leczenia immunosupresyjnego, deflazakortu w stosunku do prednizonu lub metyloprednizolonu w zapobieganiu odrzucaniu przeszczepu nerki.

Deflazakort wykazał w jednym badaniu u dzieci przed okresem pokwitania mniej działań niepożądanych w stosunku do metyloprednizolonu, a w szczególności w zakresie zaburzenia procesu wzrostu, nieprawidłowej masy ciała, gęstości kości i profilu lipidowego.

##### **Tryb wydania stanowiska**

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust. 2 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.) oraz w zw. 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 na potrzeby oceny zasadności wydawania zgody na refundację nr: OT.4311.4.2019a „Calcort

(deflazakort) we wskazaniach: stan po przeszczepie nerki, autoimmunologiczne zapalenie wątroby, zespół nerczycowy, zmiany śródmiąższowe w płucach”. Data ukończenia: 12 marca 2020.





## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 24/2020 z dnia 16 marca 2020 roku

w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku Nuedexta (dextromethorphanu hydrobromidum + quinidini sulfas) we wskazaniach: zespół opuszkowo-rzekomoopuszkowy w przebiegu stwardnienia zanikowego bocznego, zespół rzekomoopuszkowy w przebiegu choroby neuronu ruchowego

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację leku Nuedexta (dextromethorphanu hydrobromidum + quinidini sulfas), kapsułki à 20 mg/10 mg, we wskazaniach: zespół opuszkowo-rzekomoopuszkowy w przebiegu stwardnienia zanikowego bocznego, zespół rzekomoopuszkowy w przebiegu choroby neuronu ruchowego, pod warunkiem ograniczenia populacji do pacjentów z udokumentowaną nieskutecznością dostępnych w Polsce metod leczenia – leków z grupy SSRI i TCA.*

#### Uzasadnienie

##### Problem decyzyjny

*Zespół rzekomoopuszkowy (pseudobulbar affect PBA) jest spowodowany uszkodzeniem dróg korowo-jądrowych biegnących od kory okolicy ruchowej do jąder nerwów językowo-gardłowego, błędnego i podjęzykowego. Cechą charakterystyczną zespołu jest między innymi dysartria, dysfagia oraz niestabilność emocjonalna. Niestabilność manifestuje się epizodami nagłego, niekontrolowanego i nieadekwatnego śmiechu lub płaczu, niezwiązanymi z aktualnym stanem emocjonalnym, co może prowadzić do znacznego pogorszenia jakości życia pacjentów. Objawy zespołu rzekomoopuszkowego mogą towarzyszyć stwardnieniu rozsiałowemu, stwardnieniu zanikowemu bocznemu, guzom mózgu, chorobom naczyniowym mózgu jak również postępującemu porażeniu nadjądrowemu.*

##### Dowody naukowe

*Odnaleziono badanie STAR (NCT01806857), udowadniające skuteczność Nuedexta w PBA u chorych ze stwardnieniem zanikowym bocznym (60% chorych) i stwardnieniem rozsiałym (40% chorych) oraz badanie Smith 2017 (NCT 01806857), wskazujące na efektywność preparatu w leczeniu objawów związanych z zespołem opuszkowym.*



Stosowanie leku Nuedexta (dekstrometorfan z chinidyną) przez 12 tygodni w dawce 20 lub 30 mg u 326 pacjentów z zespołem rzekomoopuszkowym, spowodowanym stwardnieniem rozsianym lub stwardnieniem zanikowym bocznym, prowadziło do znaczącej redukcji liczby epizodów śmiechu lub płaczu (redukcja o około 50% w porównaniu do osób stosujących placebo). Złagodzenie objawów zespołu rzekomoopuszkowego, oceniane przy pomocy skali CNS-LS, utrzymywało się po 12 miesiącach leczenia. Stwierdzono poprawę w zakresie funkcjonowania społecznego i poczuciu zdrowia psychicznego. Odsetek pacjentów zgłaszających występowanie objawów niepożądanych (AE) był podobny we wszystkich grupach uczestniczących w badaniu. Wśród często zgłaszanych AE ( $\geq 10\%$  pacjentów) odnotowano: upadki, zawroty i bóle głowy, nudności, biegunkę, senność i zmęczenie.

W badaniu Smith 2017, pacjenci otrzymywali produkt leczniczy Nuedexta lub placebo przez 28 do 30 dni. W grupie otrzymującej aktywne leczenie uzyskano niewielką, ale istotną statystycznie poprawę objawów opuszkowych (połykanie, ślinienie i mowa). Większość działań niepożądanych miała nasilenie łagodne do umiarkowanego.

Zgodnie z zaleceniami American Academy of Neurology (AAN 2009) oraz Europejskiego Towarzystwa Naukowego Neurologów (EFNS 2012), w leczeniu zespołu rzekomoopuszkowego należy rozważyć stosowanie dekstrometorfanu z chinidyną.

#### Problem ekonomiczny

Roczny koszt terapii dla jednego pacjenta, przy założeniu dawki wg FDA, tj. 20 mg/10 mg dwa razy dziennie, wynosi 73 398,39 zł z perspektywy NFZ i 38,96 zł z perspektywy pacjenta. W 2018 r. sprowadzono do Polski 14 opakowań leku.

#### Główne argumenty decyzji

Dostępne dane kliniczne wskazują na efektywność kliniczną dekstrometorfanu z chinidyną we wnioskowanych wskazaniach. Wytyczne kliniczne także wskazują na zasadność stosowania wnioskowanego produktu leczniczego. W związku z faktem, że szacowana populacja stosująca lek jest mała, obciążenie budżetowe w przypadku pozytywnej opinii będzie niewielkie. Biorąc jednak pod uwagę możliwość stosowania w leczeniu zespołu rzekomoopuszkowego innych środków, w tym leków z grupy SSRI – fluwoksaminy i citalopramu oraz trójcyklicznych leków przeciwdepresyjnych, np. amitryptyliny, Rada sugeruje finansowanie leku Nuedexta wyłącznie u pacjentów z udokumentowaną nieskutecznością dostępnych w Polsce metod leczenia.

**Tryb wydania stanowiska**

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust. 2 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.) oraz w zw. 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 nr: OT.4311.11.2019 „Nuedexta (dekstrometorfan + chinidyna) we wskazaniach: zespół opuszkowo rzekomoopuszkowy w przebiegu stwardnienia zanikowego bocznego, zespół rzekomoopuszkowy w przebiegu choroby neuronu ruchowego”. Data ukończenia: 9 marca 2020 r.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

Opinia Rady Przejrzystości  
nr 62/2020 z dnia 16 marca 2020 roku  
o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej w zakresie  
rehabilitacji leczniczej mieszkańców gminy Chociwel  
na lata 2020-2024”

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

### Uzasadnienie

*Program zakłada przeprowadzenie cyklu rehabilitacyjnego oraz edukacji dla dorosłych mieszkańców gminy, którzy posiadają skierowanie od lekarza POZ lub lekarza specjalisty. W ramach programu zaplanowano szereg zabiegów fizykoterapeutycznych (m.in. elektroterapia, magnetoterapia, laseroterapia, światłolecznictwo, termoterapia, ultrasonoterapia, hydroterapia, krioterapia, balneoterapia), kinezyterapeutycznych (indywidualna praca z pacjentem, ćwiczenia wspomagane, ćwiczenia czynne, ćwiczenia izometryczne, wyciągi, nauka czynności lokomocji, inne formy usprawniania, ćwiczenia grupowe ogólnousprawniające), masażu i 45-minutowego spotkania edukacyjnego w grupach maksymalnie 20-osobowych przez lekarza, pielęgniarkę lub fizjoterapeutę. Szacuje się, że jedna osoba otrzyma 10-dniowy cykl, średnio po 4 zabiegi dziennie. Opis programu zawiera wszystkie istotne elementy programu, w tym budżet. Przewidziano ocenę satysfakcji świadczeniobiorców.*

*Oceniany projekt realizuje priorytet: „rehabilitacja” należący do priorytetów zdrowotnych wymienionych w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 27 lutego 2018 r. (Dz.U. 2018 poz. 469). Zaplanowane interwencje znajdują się w wykazie świadczeń gwarantowanych, natomiast wnioskodawca podkreśla, że program wynika z niewystarczającej dostępności do świadczeń zdrowotnych z zakresu rehabilitacji na terenie gminy (w tym zakresie nie działa na terenie gminy żaden świadczeniodawca). Zgodnie z Ustawą z dnia 10 czerwca 2016 r. o zmianie ustawy o działalności leczniczej oraz niektórych innych ustaw, na podstawie art. 9a i 9b, jednostki samorządu terytorialnego, w celu zaspokajania potrzeb wspólnoty samorządowej w zakresie ochrony zdrowia (uwzględniając m. in. stan*



*dostępności świadczeń opieki zdrowotnej na obszarze województwa), mogą finansować dla niej świadczenia gwarantowane.*

*Programy polityki zdrowotnej z zakresu rehabilitacji osób niepełnosprawnych były już wielokrotnie prezentowane na posiedzeniach Rady Przejrzystości i w wydanych opiniach przeważały opinie pozytywne.*

**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.441.6.2020 „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców gminy Chociwel na lata 2020-2024” realizowany przez: Gminę Chociwel, Warszawa, luty 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 63/2020 z dnia 16 marca 2020 roku  
o projekcie programu „Program profilaktyki chorób piersi i gruczołu  
sutkowego u kobiet zamieszkujących Miasto Zielonka  
na lata 2020-2022”

*Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki chorób piersi i gruczołu sutkowego u kobiet zamieszkujących Miasto Zielonka na lata 2020-2022”.*

### Uzasadnienie

*Opiniowany projekt PPZ dotyczy profilaktyki oraz wczesnego wykrywania raka piersi. Celem projektu jest „zwiększenie świadomości zdrowotnej 500 kobiet w zakresie możliwości zapobiegania i wczesnego wykrywania raka piersi, poprzez rozpowszechnienie dostępu do badań profilaktycznych dla mieszkanek Miasta Zielonka, w latach 2020-2022”.*

*Populację docelową opiniowanego projektu programu, na podstawie zaplanowanych interwencji, stanowią kobiety w wieku powyżej 30 r.ż. (w ramach działań edukacyjnych) oraz kobiety powyżej 40 r.ż. z grup ryzyka. Nie zostały one jednak doprecyzowane, co jest głównym powodem negatywnej opinii Rady. Prowadzenie badań przesiewowych u kobiet w wieku poniżej 50 roku życia budzi liczne kontrowersje. Eksperti kliniczni poproszeni o opinię do tego typu programów polityki zdrowotnej podkreślają, że populacja docelowa obecnie realizowanego populacyjnego programu przesiewowego (50-69 lat) i interwał między turami badania (2 lata) jest rozwiązaniem wzorcowym, natomiast wdrażanie przesiewowych badań mammograficznych w innych grupach wiekowych może prowadzić do nadrozpoznawalności i nieść za sobą szereg działań jatrogennych.*

*Rada zwraca uwagę, że kryteria wyłączenia z programu obejmują rozpoznane nosicielstwo genów BRCA1/BRCA2, które jest głównym wskazaniem do prowadzenia badań przesiewowych w wieku poniżej 50 lat. Zdecydowana większość odnalezionych zaleceń odnosi się pozytywnie do realizowanego w Polsce przesiewowego wykonywania mammografii u kobiet w wieku 50-74 lata. Najbardziej wartościowym elementem projektu są proponowane działania*



*edukacyjne, nie wystarczają one jednak, zdaniem Rady, do pozytywnego zaopiniowania ocenianego projektu.*

**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.441.7.2020 „Program profilaktyki chorób piersi i gruczołu sutkowego u kobiet zamieszkujących Miasto Zielonka na lata 2020-2022” realizowany przez: Miasto Zielonka, Warszawa, marzec 2020 oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy profilaktyki raka piersi – wspólne podstawy oceny” z czerwca 2015 r.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

### Opinia Rady Przejrzystości nr 64/2020 z dnia 16 marca 2020 roku o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej leczenia niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego dla mieszkańców Gminy Kielce”

*Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej leczenia niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego dla mieszkańców Gminy Kielce”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady oraz zawartych w raporcie AOTMiT.*

#### **Uzasadnienie**

*Projekt programu, przedłożony przez gminę Kielce, dotyczy leczenia niepłodności i zakłada realizację procedury zapłodnienia pozaustrojowego. Wnioskodawca omówił problem zdrowotny, przedstawił definicję i rodzaje niepłodności oraz czynniki ryzyka i przyczyny. Przedstawił też w sposób zdawkowy sytuację epidemiologiczną – w treści projektu zaznaczono, że problem niepłodności w Polsce dotyczy od 10% do 16% par, a zatem ok. 1,35-1,5 mln par wymaga pomocy lekarskiej w tym zakresie, zaś zapotrzebowanie na leczenie techniką IVF kształtuje się na poziomie ok. 23-25 tys. rocznie.*

*Zgodnie z rekomendacjami PTMR/PTG 2018 oraz opiniami ekspertów, zaplanowana przez wnioskodawcę procedura zapłodnienia pozaustrojowego 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. Procedury w tym zakresie są regulowane przez przepisy ustawy z dnia 25 czerwca 2015 r. o leczeniu niepłodności.*

*Realizację programu zaplanowano na lata 2020-2024. Populację docelową będą stanowić pary (w wieku powyżej 20 lat) zamieszkałe na terenie Kielc, u których stwierdzono bezwzględną przyczynę niepłodności lub nieskuteczne jej leczenie w okresie 12 miesięcy poprzedzających zgłoszenie do programu, wraz ze wskazaniem do zapłodnienia pozaustrojowego. Na podstawie wielkości populacji kobiet w wieku 20-49 lat w Kielcach (38 713 tys.), wnioskodawca przyjął liczbę niepłodnych par w omawianej populacji na ok. 6 194 par. Przyjmując założenie, że w przypadku stwierdzenia niepłodności, tylko u ok. 2% par stosuje*





się procedurę zapłodnienia pozaustrojowego, oszacowano, że z tej metody mogłyby skorzystać 123 pary.

W ramach planowanych interwencji, wnioskodawca wskazał realizację części klinicznej (porady lekarskie; badania zgodne z rozporządzeniem Ministra Zdrowia z dnia 23 października 2015 r.; badania USG w celu oceny procesu stymulacji jajczkowania; badania estradiolu i progesteronu; punkcja jajników w celu pobrania komórek jajowych; znieczulenie anestezyjologiczne) oraz części biotechnologicznej (preparatyka nasienia; zapłodnienie IVF/ICSI; hodowla zarodków; transfer zarodków do macicy; przygotowanie niepodanych zarodków do przechowywania). Zaplanowano również wizytę lekarską pacjentki, w celu oceny skuteczności zabiegu i wykonania badania Beta hCG. W ramach programu zapewniono ponadto poradnictwo i edukację podczas porad lekarskich. Udział w programie będzie gwarantował uczestnikom możliwość skorzystania z maksymalnie 3 cykli leczniczych. Procedura zapłodnienia pozaustrojowego będzie realizowana zarówno z wykorzystaniem własnych gamet pary uczestniczącej w programie, jak również z gamet pobranych od anonimowego dawcy, jeżeli będą takie wskazania medyczne.

Wnioskodawca określił, że „w jednym cyklu stymulowanego jajczkowania można zapłodnić do sześciu komórek jajowych u kobiet do ukończenia 35 roku życia. Natomiast po dwóch nieudanych próbach związanych z zapłodnieniem 6 komórek, dopuszcza się możliwość zapłodnienia wszystkich uzyskanych komórek. U kobiet powyżej 35 roku życia nie ogranicza się liczby zapładnianych komórek jajowych”. Program musi być zgodny z ustawą o leczeniu niepłodności, według której dopuszcza się zapłodnienie pozaustrojowe nie więcej niż sześciu żeńskich komórek rozrodczych, chyba że biorczyni ukończyła 35 r.ż. lub istnieją wskazania medyczne wynikające z choroby współistniejącej z niepłodnością lub nieskuteczne były wcześniejsze dwie próby leczenia metodą zapłodnienia pozaustrojowego.

W świetle projektu zaleca się transferowanie jednego zarodka w jednej procedurze, jednak w szczególnie uzasadnionych okolicznościach dopuszczalny jest transfer maksymalnie dwóch zarodków. Odnalezione wytyczne zalecają zaś transfer pojedynczego zarodka, ze względu na bezpieczeństwo położnicze kobiety i płodu oraz uniknięcie ryzyka ciąży mnogich (ACOG 2016, IFFS 2015A, SOGC 2014, EBCOG 2014).

Wnioskodawca zaznacza, że koszty przechowywania zarodków oraz kriotransferów nie będą finansowane w ramach programu. Koszty te zostaną pokryte przez parę uczestniczącą w programie. W przypadku, gdy ze względów medycznych nie dojdzie do transferu „świeżych zarodków” do macicy, w ramach programu będzie sfinansowany transfer rozmrożonych zarodków.

Głównym założeniem programu jest „poprawa dostępu dla mieszkańców gminy Kielce uczestniczących w Programie, do świadczeń zdrowotnych w zakresie leczenia niepłodności w latach 2020-2024”. Proponowany cel nie odnosi się więc do efektu zdrowotnego. W treści projektu programu wymieniono także 2 cele szczegółowe – w przypadku celu nr 1 brakuje uzasadnienia dla przyjętej wartości docelowej - ograniczenia zjawiska niepłodności, z kolei wskazany cel szczegółowy nr 2 nie odnosi się do efektu zdrowotnego. W projekcie programu zaproponowano 4 mierniki efektywności, z których 1, 3, i 4 nie spełniają jednak tej funkcji, choć mogą być wykorzystane podczas monitorowania, zaś miernik nr 2 nie odnosi się bezpośrednio do celów programu, może być natomiast wykorzystany podczas ewaluacji.

Projekt zawiera opis etapów i działań podejmowanych w ramach programu. Określono też w sposób szczegółowy warunki dotyczące personelu, wyposażenia i warunków lokalowych. Realizatorem programu będzie podmiot leczniczy wybrany w drodze konkursu. Akcja informacyjna realizowana będzie za pośrednictwem stron internetowych, mediów społecznościowych oraz środków masowego przekazu, które są w dyspozycji organizatora.

Projekt programu zakłada prowadzenie jego monitorowania. Ocena zgłaszalności do programu będzie dokonywana na podstawie rejestru osób aplikujących do programu. Wnioskodawca nie wskazuje konkretnych wskaźników, które miałyby podlegać analizie. W punkcie dot. mierników efektywności wymieniono kilka wskaźników, które można wykorzystać podczas oceny zgłaszalności. Ocena jakości świadczeń w programie dokonana zostanie na podstawie analizy ankiety satysfakcji skierowanych do uczestników programu, której wzór załączono do projektu. Wnioskodawca wskazuje, jako kolejny element monitorowania, ocenę efektywności, która będzie polegała na zbieraniu informacji o osiągnięciu mierników efektywności realizacji programu oraz informacji o ilości wykonanych świadczeń w ramach programu na koniec roku. Do projektu załączono wzór sprawozdania rocznego. W treści projektu odniesiono się również do ewaluacji. Sformułowano jednak tylko jeden poprawny wskaźnik ewaluacyjny dot. liczby urodzonych dzieci. W związku z tym nie będzie możliwe przeprowadzenie kompleksowej oceny efektywności podjętych działań.

Wnioskodawca wskazał, że całkowity koszt programu wyniesie 1 500 000 zł. Program będzie finansowany ze środków budżetu gminy Kielce. Uczestnikom programu będzie przysługiwać dofinansowanie do procedury zapłodnienia pozaustrojowego w wysokości do 80%, maksymalnie do kwoty 5 000 zł na jedną procedurę zapłodnienia pozaustrojowego. W świetle tych zasad możliwe będzie przeprowadzenie 300 procedur zapłodnienia pozaustrojowego, zatem z programu skorzysta co najmniej 100 par.

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

- *opracowanie przejrzystych zasad sprawiedliwego dostępu do programu zainteresowanym parom;*
- *opracowanie zasad kwalifikacji dawców gamet do dawstwa niepartnerskiego oraz procedury adopcji zarodków;*
- *wprowadzenie obowiązku szczegółowego informowania beneficjentów o procedurze kriokonserwacji i zasadach jej finansowania;*
- *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 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.441.10.2020 „Program polityki zdrowotnej leczenia niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego dla mieszkańców Gminy Kielce” realizowany przez: Gminę Kielce, Warszawa, luty 2020 oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy z zakresu leczenia niepłodności technikami wspomaganego rozrodu (ART) – wspólne podstawy oceny”, styczeń 2018 r.