



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

BP.401.21.2020.MKZ

**Protokół nr 19/2020
z posiedzenia Rady Przejrzystości
w dniu 11 maja 2020 roku
w formie wideokonferencji**

Piotr Szymański otworzył posiedzenie o godzinie 10:14.

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

1. Anna Cieślik
2. Maciej Karaszewski
3. Adam Maciejczyk
4. Tomasz Młynarski
5. Michał Myśliwiec
6. Tomasz Romańczyk
7. Rafał Suwiński
8. Piotr Szymański – prowadził posiedzenie
9. Janusz Szyndler

Proponowany porządek obrad:

1. Ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Opdivo (nivolumab) w skojarzeniu z Yervoy (ipilimumab) we wskazaniu: sarkomatoidalny rak nerkowokomórkowy G4 (ICD-10: C64).
3. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Yervoy (ipilimumab) w skojarzeniu z Opdivo (nivolumab) we wskazaniu: sarkomatoidalny rak nerkowokomórkowy G4 (ICD-10: C64)..
4. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Zydelig (idelalisib) we wskazaniu: przewlekła białaczka limfocytowa (ICD-10: C91.1).
5. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację sprowadzanego z zagranicy w ramach importu docelowego leku Firdapse (amifampridinum) we wskazaniu: zespół miasteniczny Lamberta-Eatona.
6. Przygotowanie opinii w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną teriflunomidum we wskazaniu: leczenie pacjentów w wieku od 12 lat.
7. Przygotowanie opinii w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną dimethylis fumaras we wskazaniu: leczenie pacjentów w wieku od 12 lat.



8. Przygotowanie opinii w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną peginterferonum beta-1a we wskazaniu: leczenie pacjentów w wieku od 12 lat.
9. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej współfinansowanego przez UE w ramach EFS: „Program rehabilitacyjny dla pacjentów onkologicznych w wieku 18-64 lata z terenu województwa wielkopolskiego”.
10. Przygotowanie opinii o projektach programów polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego:
 - 1) „Leczenie niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego – in vitro dla mieszkańców gminy Nowogard w latach 2020-2022”,
 - 2) „Program Polityki Zdrowotnej w zakresie profilaktyki i wczesnego wykrywania raka piersi dla mieszkanki Gminy Białe Błota na lata 2020-2025”,
 - 3) „Program Polityki Zdrowotnej w zakresie profilaktyki i wczesnego wykrywania raka gruczołu krokowego – prostaty dla mężczyzn zamieszkałych na terenie Gminy Białe Błota na lata 2020-2025”,
 - 4) „Program Polityki Zdrowotnej w zakresie walki z otyłością wśród uczniów klas I-VIII Szkół Podstawowych na terenie Gminy Białe Błota w latach 2020-2025”,
 - 5) „Program polityki zdrowotnej w zakresie zwiększenia aktywności fizycznej i obniżenia skali występowania wad postawy u uczniów klas I-III Szkół Podstawowych na terenie Gminy Białe Błota na lata 2020-2025”,
 - 6) „Program polityki zdrowotnej dla seniorów z terenu powiatu nowosolskiego na lata 2020-2021 «Koperta życia - twoje zdrowie, twoje życie»”.
11. Zakończenie posiedzenia.

Ad 1. Tomasz Romańczyk zgłosił konflikt interesów w stosunku do leków Opdivo, Yervoy oraz Zydelig. Rada jednogłośnie (8 osób „za”) podjęła decyzję o wyłączeniu go z udziału w pracach Rady w zakresie pkt 2, 3 i 4 proponowanego porządku obrad.

Rafał Suwiński zgłosił konflikt interesów w stosunku do leków Opdivo oraz Yervoy. Rada jednogłośnie (8 osób „za”) podjęła decyzję o wyłączeniu go z udziału w pracach Rady w zakresie pkt 2 i 3 proponowanego porządku obrad.

Żaden z pozostałych członków Rady nie zgłosił konfliktu interesów.

Ad 2. Analitik Agencji podsumował dane z raportu dla leku Opdivo (RDTL) w skojarzeniu z Yervoy (ipilimumab) we wskazaniu dot. sarkomatoidalnego raka nerkowokomórkowego, a propozycję opinii Rady przedstawił Adam Maciejczyk.

Wobec braku innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (7 głosów „za”, Rafał Suwiński i Tomasz Romańczyk nie brali udziału w głosowaniu ze względu na zgłoszony konflikt interesów) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 1 do protokołu).

Na posiedzenie przybył Artur Zaczyński, który nie zadeklarował konfliktu interesów.

Ad 3. Analitik Agencji podsumował dane z raportu dla Yervoy (RDTL) w skojarzeniu z Opdivo (nivolumab) we wskazaniu dot. sarkomatoidalnego raka nerkowokomórkowego, a propozycję opinii Rady przedstawił Adam Maciejczyk.

Wobec braku innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (8 głosów „za”, Rafał Suwiński i Tomasz Romańczyk nie brali udziału w głosowaniu ze względu na zgłoszony konflikt interesów) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 2 do protokołu).

Ad 4. Analityk Agencji omówił najważniejsze informacje z raportu dot. leku Zydelig (RDTL) we wskazaniu: przewlekła białaczka limfocytowa, a propozycję opinii Rady przedstawił Janusz Szyndler.

W trakcie dyskusji Janusz Szyndler, Adam Maciejczyk, Piotr Szymański, Maciej Karaszewski, Rafał Suwiński oraz Michał Myśliwiec dokonali modyfikacji treści zaproponowanej opinii, po czym Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 8 głosami „za”, przy 1 głosie „przeciw” (10 osób obecnych, Tomasz Romańczyk nie brał udziału w głosowaniu ze względu na zgłoszony konflikt interesów) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 3 do protokołu).

Ad 5. Analityk Agencji streścił raport w sprawie leku Firdapse (import docelowy) we wskazaniu: zespół miasteniczny Lamberta-Eatona, a propozycję stanowiska Rady przedstawiła Anna Cieślik.

W dyskusji Rady udział brali: Anna Cieślik, Piotr Szymański, Janusz Szyndler, Michał Myśliwiec, Maciej Karaszewski,

W formułowaniu finalnej wersji opinii Rady udział wzięli: Anna Cieślik, Piotr Szymański, Michał Myśliwiec oraz Janusz Szyndler, po czym Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 4 do protokołu).

Ad 6. Propozycję opinii w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną teriflunomidum we wskazaniu dot. leczenia pacjentów w wieku od 12 lat przedstawił Tomasz Młynarski

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

Ad 7. Propozycję opinii w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną dimethylis fumaras we wskazaniu dot. leczenia pacjentów w wieku od 12 lat przedstawił Tomasz Młynarski

Wobec braku innych głosów odmiennych od przedstawionej w propozycji opinii, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 6 do protokołu).

Ad 8. Propozycję opinii w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną peginterferonum beta-1a we wskazaniu dot. leczenia pacjentów w wieku od 12 lat przedstawił Tomasz Młynarski

Wobec braku głosów odmiennych od przedstawionej w propozycji opinii, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 7 do protokołu).

Ad 9. Analityk Agencji omówił program polityki zdrowotnej współfinansowanego przez UE w ramach EFS województwa wielkopolskiego w zakresie rehabilitacji dla pacjentów onkologicznych w wieku 18-64 lata, a propozycję opinii Rady przedstawił Rafał Suwiński.

W dyskusji głos zabrali: Michał Myśliwiec oraz Maciej Karaszewski, po czym Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 8 do protokołu).

Ad 10 1) Analityk Agencji omówił program gminy Nowogard w zakresie leczenia niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego, a propozycję opinii Rady przedstawił Piotr Szymański.

W dyskusji i formułowaniu końcowej wersji opinii uczestniczyli Tomasz Romańczyk i Piotr Szymański, po czym Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 9 głosami „za”, przy 1 głosie „przeciw” (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 9 do protokołu).

2) Analityk Agencji omówił program gminy Białe Błota w zakresie profilaktyki i wczesnego wykrywania raka piersi, a propozycję opinii Rady przedstawił Maciej Karaszewski.

W dyskusji głos zabrali: Michał Myśliwiec, Rafał Suwiński, Adam Maciejczyk, Janusz Szyndler oraz Piotr Szymański, po czym Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 10 do protokołu).

3) Analityk Agencji omówił program gminy Białe Błota w zakresie profilaktyki i wczesnego wykrywania raka gruczołu krokowego, a propozycję opinii Rady przedstawił Maciej Karaszewski.

Wobec braku innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 11 do protokołu).

4) Analityk Agencji omówił program gminy Białe Błota w zakresie walki z otyłością wśród uczniów klas I-VIII szkół podstawowych, a propozycję opinii Rady przedstawił Tomasz Romańczyk.

W dyskusji głos zabrali: Michał Myśliwiec, Artur Zaczyński oraz Piotr Szymański, po czym Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 9 głosami „za”, przy 1 głosie „przeciw” (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 12 do protokołu).

5) Analityk Agencji omówił program gminy Białe Błota w zakresie zwiększenia aktywności fizycznej i obniżenia skali występowania wad postawy u uczniów klas I-III Szkół Podstawowych.

Głos zabrał Tomasz Romańczyk.

Propozycję opinii Rady przedstawił Artur Zaczyński.

Głos zabrał Janusz Szyndler, po czym Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 13 do protokołu).

7) Analityk Agencji omówił program powiatu nowosolskiego w zakresie ratownictwa medycznego.

Głos zabrali: Rafał Suwiński, Tomasz Romańczyk oraz Artur Zaczyński.

Propozycję opinii Rady przedstawił Michał Myśliwiec.

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

Ad 11. Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 12:53.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

**Opinia Rady Przejrzystości
nr 102/2020 z dnia 11 maja 2020 roku
w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych,
w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych,
leku Opdivo (niwolumab) w skojarzeniu z lekiem Yervoy
(impilimumab) we wskazaniu: sarkomatoidny
rak nerkowokomórkowy G4 (ICD-10: C64)**

Rada Przejrzystości uważa za niezasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Opdivo (niwolumab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, fiolka á 10 mg/ml, w skojarzeniu z lekiem Yervoy (impilimumab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, fiolka á 5 mg/ml, we wskazaniu: sarkomatoidny rak nerkowokomórkowy G4 (ICD-10: C64).

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Rak nerkowokomórkowy sarkomatoidalny (mięsakopodobny) stanowi 1% z wszystkich typów raka nerkowokomórkowego. Jest to agresywny, niskozróżnicowany i anaplastyczny nowotwór. Średnia wieku zachorowania wynosi około 22 lat. We wniosku dołączonym do przedmiotowego zlecenia zawarto informacje, że dotyczy on pacjenta, u którego stwierdzono rozsiew choroby. Dotychczasowe leczenie pacjenta obejmowało: bilobektomię dolną prawą; retoraktomię prawostronną z wycięciem guza opłucnej po stronie prawej; chemioterapię pemetreksedem/cisplatyną; radioterapię oraz nefrektomię lewostronną.

Produkty lecznicze Opdivo (niwolumab) oraz Yervoy (ipilimumab) nie były dotychczas oceniane w Agencji we wnioskowanym wskazaniu. Produkt leczniczy Opdivo aktualnie jest refundowany w 5 programach lekowych, w tym od stycznia 2020 r. w programie lekowym B.10, dotyczącym leczenia raka nerki. Pacjent nie ma możliwości leczenia systemowego temsyrolimusem w ramach Programu Lekowego z uwagi na pośrednie rokowanie.

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Odnaleziono jedynie 1 opis przypadku w publikacji George 2020, gdzie u pacjenta uzyskano częściową odpowiedź na leczenie, która utrzymywała się przez 9



miesiący, a terapię ostatecznie przerwano z powodu toksyczności (zmęczenie i bóle stawów w stopniu 3) oraz progresji choroby. Należy jednak podkreślić, że większość odnalezionych wytycznych klinicznych odnosi się do leczenia sarkomatoidalnego raka nerkowokomórkowego w ramach I linii leczenia (NCCN 2020, SEOM/SOGUG 2020, ESMO 2019 i SIC 2019). W hiszpańskich wytycznych SEOM/SOGUG 2020 dodatkowo wskazano, że dla dalszych linii leczenia nie wydano rekomendacji z uwagi na brak wystarczających dowodów naukowych. Jedynie europejskie wytyczne EAU 2020 zawierają wzmiankę nie stanowiącą jednak rekomendacji, że w przypadku RCC w guzach nerki z cechami sarkomatoidów analiza podgrupy wykazała pozytywne wyniki dla inhibitorów PD-L1 w połączeniu z terapią ukierunkowaną na CTLA4 lub VEGF. Bewacyzumab+atezolizumab, ipilumab+niwolumab, aksytynib+pembrolizumab i awelumab+akstytynib mogą być zalecane zamiast samej terapii celowanej na VEGF.

Bezpieczeństwo stosowania

Do często występujących działań niepożądanych niwolumabu w skojarzeniu z ipilimumabem należą między innymi: niedoczynność/nadczynność tarczycy, zapalenie jelita grubego, limfocytopenia, leukopenia, neutropenia, małopłytkowość, niedokrwistość oraz hipotermia.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

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

Konkurencyjność cenowa

Według wniosku załączonego do zlecenia MZ koszt 3 miesięcznej terapii wynosi: ████████ PLN. W ocenianym wskazaniu brak jest aktywnej technologii alternatywnej dla ocenianej technologii lekowej, w związku z czym odstąpiono od przedstawienia jej kosztu.

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

Nie jest znana liczba pacjentów, u których można zastosować wnioskowaną technologię lekową w ramach RDTL. Tym samym, wpływ na wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorców nie był możliwy do oszacowania.

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

Zgodnie ze zleceniem populacja docelowa obejmuje pacjentów z sarkomatoidalnym rakiem nerkowokomórkowym G4 (ICD-10: C64) po wcześniejszym leczeniu. Wnioskowane skojarzenie jest więc terapią kolejnej

linii. Zgodnie z Obwieszczeniem Ministra Zdrowia na dzień 1 marca 2020 r. w leczeniu nowotworu złośliwego nerki, w ramach katalogu chemioterapii, refundowanych jest szereg leków, ale żadna z substancji nie jest wymieniona w wytycznych jako możliwy komparator.

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.), opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych nr: OT.422.37.2020 OT.422.44.2020 „Opdivo (niwolumab) w skojarzeniu z Yervoy (ipilimumab) we wskazaniu: sarkomatoidny rak nerkowokomórkowy G4 (ICD-10: C64)”. Data ukończenia: 07 maja 2020.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców 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

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 103/2020 z dnia 11 maja 2020 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Yervoy (impilimumab) w skojarzeniu z lekiem Opdivo (niwolumab) we wskazaniu: sarkomatoidny rak nerkowokomórkowy G4 (ICD-10: C64)

Rada Przejrzystości uważa za niezasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Yervoy (impilimumab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, fiolka á 5 mg/ml, w skojarzeniu z lekiem Opdivo (niwolumab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, fiolka á 10 mg/ml, we wskazaniu: sarkomatoidny rak nerkowokomórkowy G4 (ICD-10: C64).

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Rak nerkowokomórkowy sarkomatoidalny (mięsakopodobny) stanowi 1% z wszystkich typów raka nerkowokomórkowego. Jest to agresywny, niskozróżnicowany i anaplastyczny nowotwór. Średnia wieku zachorowania wynosi około 22 lat. We wniosku dołączonym do przedmiotowego zlecenia zawarto informacje, że dotyczy on pacjenta, u którego stwierdzono rozsiew choroby. Dotychczasowe leczenie pacjenta obejmowało: bilobektomię dolną prawą; retoraktomię prawostronną z wycięciem guza opłucnej po stronie prawej; chemioterapię pemetreksedem/cisplatyną; radioterapię oraz nefrektomię lewostronną.

Produkty lecznicze Opdivo (niwolumab) oraz Yervoy (ipilimumab) nie były dotychczas oceniane w Agencji we wnioskowanym wskazaniu. Produkt leczniczy Opdivo aktualnie jest refundowany w 5 programach lekowych, w tym od stycznia 2020 r. w programie lekowym B.10, dotyczącym leczenia raka nerki. Pacjent nie ma możliwości leczenia systemowego temsyrolimusem w ramach Programu Lekowego z uwagi na pośrednie rokowanie.

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Odnaleziono jedynie 1 opis przypadku w publikacji George 2020, gdzie u pacjenta uzyskano częściową odpowiedź na leczenie, która utrzymywała się przez 9



miesiący, a terapię ostatecznie przerwano z powodu toksyczności (zmęczenie i bóle stawów w stopniu 3) oraz progresji choroby. Należy jednak podkreślić, że większość odnalezionych wytycznych klinicznych odnosi się do leczenia sarkomatoidalnego raka nerkowokomórkowego w ramach I linii leczenia (NCCN 2020, SEOM/SOGUG 2020, ESMO 2019 i SIC 2019). W hiszpańskich wytycznych SEOM/SOGUG 2020 dodatkowo wskazano, że dla dalszych linii leczenia nie wydano rekomendacji z uwagi na brak wystarczających dowodów naukowych. Jedynie europejskie wytyczne EAU 2020 zawierają wzmiankę nie stanowiącą jednak rekomendacji, że w przypadku RCC w guzach nerki z cechami sarkomatoidów analiza podgrupy wykazała pozytywne wyniki dla inhibitorów PD-L1 w połączeniu z terapią ukierunkowaną na CTLA4 lub VEGF. Bewacyzumab+atezolizumab, ipilumab+niwolumab, aksytynib+pembrolizumab i awelumab+akstytynib mogą być zalecane zamiast samej terapii celowanej na VEGF.

Bezpieczeństwo stosowania

Do często występujących działań niepożądanych niwolumabu w skojarzeniu z ipilimumabem należą między innymi: niedoczynność/nadczynność tarczycy, zapalenie jelita grubego, limfocytopenia, leukopenia, neutropenia, małopłytkowość, niedokrwistość oraz hipotermia.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

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

Konkurencyjność cenowa

Według wniosku załączonego do zlecenia MZ koszt 3 miesięcznej terapii wynosi: ████████ PLN. W ocenianym wskazaniu brak jest aktywnej technologii alternatywnej dla ocenianej technologii lekowej, w związku z czym odstąpiono od przedstawienia jej kosztu.

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

Nie jest znana liczba pacjentów, u których można zastosować wnioskowaną technologię lekową w ramach RDTL. Tym samym, wpływ na wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorców nie był możliwy do oszacowania.

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

Zgodnie ze zleceniem populacja docelowa obejmuje pacjentów z sarkomatoidalnym rakiem nerkowokomórkowym G4 (ICD-10: C64) po wcześniejszym leczeniu. Wnioskowane skojarzenie jest więc terapią kolejnej

linii. Zgodnie z Obwieszczeniem Ministra Zdrowia na dzień 1 marca 2020 r. w leczeniu nowotworu złośliwego nerki, w ramach katalogu chemioterapii, refundowanych jest szereg leków, ale żadna z substancji nie jest wymieniona w wytycznych jako możliwy komparator.

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.), opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych nr: OT.422.37.2020 OT.422.44.2020 „Opdivo (niwolumab) w skojarzeniu z Yervoy (ipilimumab) we wskazaniu: sarkomatoidny rak nerkowokomórkowy G4 (ICD-10: C64)”. Data ukończenia: 07 maja 2020.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone kolorem czarnym stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców 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.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 104/2020 z dnia 11 maja 2020 roku
w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych,
w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych,
leku Zydelig (idelalizyb) we wskazaniu: przewlekła białaczka
limfocytowa (ICD10: C91.1)

Rada Przejrzystości uważa za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Zydelig (idelalizyb), tabl. powlekane á 150 mg, we wskazaniu: przewlekła białaczka limfocytowa (ICD10: C91.1), pod warunkiem stosowania u chorych z mutacją TP53, którzy byli wcześniej nieskutecznie leczeni ibrutynibem i wenetoklaksem.

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Przewlekła białaczka limfocytowa (PBL) jest chorobą nowotworową morfologicznie dojrzałych limfocytów. Przebieg naturalny PBL jest bardzo zróżnicowany. W większości przypadków po fazie łagodnego przebiegu, choroba kończy się okresem ciężkich powikłań i zgonem (po 5-10 latach). Przebieg łagodny, z czasem przeżycia sięgającym 10-20 lat, występuje u mniej niż 30% chorych. U niektórych chorych, choroba od początku przebiega agresywnie i prowadzi do zgonu w ciągu 2-3 lat.

Wniosek dotyczy osoby z PBL z obecnością mutacji TP53, leczonej dotychczas następującymi schematami chemioterapii: rytuksymabem (wstrząs), schematem CHOEP (cyklofosfamid, doksorubicyna, winkrystyna, etopozyd, prednizolon); ibrutynibem (badanie kliniczne), schematem DHAP (deksametazon, cytarabina, cisplatyna), schematem hyper-CVAD (cyklofosfamid, winkrystyna, doksorubicyna, deksametazon) oraz lekiem Venclyxto. Obecność mutacji genu TP53 jest jednym z ważniejszych, niekorzystnych rokowniczo czynników ryzyka u chorych z PBL, wiążącym się ze znacznie krótszym czasem przeżycia.

Produkt Zydelig (idelalizyb) jest zarejestrowany do stosowania w terapii skojarzonej z rytuksymabem w leczeniu dorosłych pacjentów z przewlekłą białaczką limfocytową (PBL), którzy uprzednio otrzymywali co najmniej jedną terapię lub jako leczenie pierwszego rzutu w przypadku występowania delecji 17p lub mutacji TP53 u pacjentów, którzy nie kwalifikują się do innych terapii.



Skuteczność kliniczna i praktyczna

Analizę skuteczności klinicznej idelalizybu oparto na przeglądzie systematycznym i meta-analizie randomizowanych badań klinicznych (Puła 2017) oceniającej skuteczność i bezpieczeństwo inhibitorów szlaku sygnałowego receptora limfocytów B, idelalizybu i ibrutynibu w leczeniu nawrotowej lub opornej PBL. Do przeglądu włączono 22 publikacje, w tym artykuły opisujące wyniki dwóch badań klinicznych dotyczących ibrutynibu: Byrd 2014; Chanan-Khan 2015 oraz 10 publikacji opisujących wyniki trzech badań klinicznych dotyczących idelalizybu: Furman 2014; Jones 2017; Zelenetz, 2017.

Wyniki meta-analzy wykazały, że w grupie pacjentów stosujących schematy leczenia z idelalizybem odnotowano statystycznie istotne wydłużenie PFS (HR: 0,26; 95% CI: 0,18-0,37) oraz OS (HR: 0,59; 95% CI: 0,40-0,86) względem grupy kontrolnej. Nie stwierdzono statystycznie istotnych różnic w PFS w zależności od obecności delecji 17p. Bez względu na stosowany schemat leczenia zaobserwowane różnice w PFS były istotne statystycznie na korzyść schematu z idelalizybem. Należy podkreślić, że w badaniach oceniających skuteczność idelalizybu mutację TP53 stwierdzano u 33–44% pacjentów. Przed rozpoczęciem terapii idelalizybem u pacjentów stosowano najczęściej: rytuksymab, cyklofosfamid, fludarabina, bendamustyna, chlorambucyl.

W retrospektywnym badaniu kohortowym (Mato 2020) analizowano wyniki leczenia pacjentów z PBL za pomocą różnych schematów terapeutycznych, po zaprzestaniu leczenia wenetoklaksem. Do badania włączono 326 pacjentów z PBL (96% z nawrotową lub oporną na leczenie PBL), których nieskutecznie leczono wenetoklaksem. U 45% pacjentów stwierdzano mutację TP53. W populacji pacjentów otrzymujących idelalizyby lub duvelizyby (grupa PI3Ki) współczynnik całkowitej odpowiedzi na leczenie wyniósł 46,9%, podczas gdy w grupie leczonej ibrutynibem i akalabrutynibem (grupa BTKi) – 53,4%. Mediana PFS wyniosła 5 miesięcy w grupie PI3Ki oraz 12 miesięcy w grupie BTKi. Odsetek pacjentów przerywających leczenie był wyższy w grupie PI3Ki w porównaniu do BTKi (78% vs 38%), głównie z powodu progresji choroby oraz działań niepożądanych. Wstępna retrospektywna analiza efektywności inhibitorów PI3K u pacjentów z opornością na wenetoklaks, jak i ibrutynib sugeruje wprawdzie słabą skuteczność, prawdopodobnie gorszą od kontynuacji stosowania ibrutynibu (PFS 5 vs. 12 miesięcy) i występowanie oporności na inhibitory PI3K w przypadku oporności na inhibitory BTK i/lub wenetoklaks, ale wymaga to potwierdzenia.

Według wytycznych PTHiT/PALG-CLL 2016 idelalizyby w skojarzeniu z rytuksymabem jest zalecany u pacjentów z delecją 17p lub mutacją TP53 – zarówno z nawrotem do 24 miesięcy, jak i po 24 miesiącach od rozpoczęcia terapii I linii, a także w przypadku oporności na leczenie. Ponadto na tym etapie ścieżki terapeutycznej wytyczne zalecają ibrutynib, HDMP/-R, udział w badaniach

klinicznych. Według wytycznych ESMO 2015 (aktualizacja 2017) pacjenci z niepowodzeniem terapii z zastosowaniem inhibitorów BCR powinni przejść na leczenie antagonistami BCL2, jeśli są dostępne. Terapią drugiego wyboru jest zmiana leczenia na inny inhibitor BCR, np. z inhibitora BTK na inhibitor PI3K lub na odwrót.

Bezpieczeństwo stosowania

Leczenia produktem Zydelig nie należy rozpoczynać u pacjentów z jakimikolwiek objawami trwającego układowego zakażenia bakteryjnego, grzybiczego lub wirusowego. Podczas stosowania idelalazybu występowały ciężkie i zakończone zgonem zakażenia, w tym zakażenia oportunistyczne, takie jak zapalenie płuc wywołane przez *Pneumocystis jirovecii* (PJP) i zakażenia wirusem cytomegalii (CMV). Wszystkim pacjentom w czasie leczenia idelalazybem, należy podawać leczenie profilaktyczne przeciw PJP i przez okres od 2 do 6 miesięcy po jego przerwaniu.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Europejska Agencja ds. Leków w swoim raporcie oceniającym wskazała, że stosunek korzyści do ryzyka w zatwierdzonych wskazaniach pozostaje dodatni, pod warunkiem, że idelalazyb jako leczenie pierwszego rzutu jest stosowany tylko u pacjentów z delecją 17p lub mutacją TP53, którzy nie kwalifikują się do żadnej innej terapii, oraz że w charakterystyce produktu zostaną wprowadzone zmiany minimalizujące ryzyko poważnych infekcji.

Konkurencyjność cenowa

Według wniosku załączonego do zlecenia MZ koszt 3-miesięcznej terapii (180 tabletek, 1 tabl. 2x dziennie) wynosi: ██████████ zł brutto. W ocenianym wskazaniu brak jest aktywnej technologii alternatywnej dla ocenianej technologii lekowej, w związku z czym odstąpiono od przedstawienia jej kosztu.

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

Na podstawie przyjętych założeń koszt finansowania ze środków publicznych ocenianej technologii lekowej w ramach RDTL u 8 pacjentów przez 3 miesiące wyniesie: ██████████ zł brutto. Obliczenia mogą nie odzwierciedlać rzeczywistych wydatków ponoszonych przez płatnika publicznego ze względu na niepewności dotyczące rzeczywistej: ceny leku, liczby pacjentów (w tym odsetka pacjentów, u których leczenie wenetoklaksem będzie nieskuteczne), czy czasu leczenia.

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

Zarówno polskie wytyczne, jak i ogólnoeuropejskie w przypadku opornej lub nawrotowej przewlekłej białaczki limfocytowej oprócz idelalizubamu zalecają stosowanie ibrutynibu. W wytycznych ESMO 2015 (aktualizacja 2017) dodatkowo zalecany jest także wenetoklaks. W wytycznych PTHiT/PALG-CLL

2016 wśród terapii alternatywnych dla idelalizumabu wymienione są także wysokie dawki metyloprednizolonu z rytuksymabem (HDMP-R). W obu wytycznych u pacjentów młodszych bez chorób współistniejących zaleca się allo-HSCT. Schematy wymienione w wytycznych są refundowane, zatem nie stanowią komparatora dla technologii wnioskowanej w ramach RDTL. Ibrutynib jest finansowany w ramach programu lekowego B.92 „Ibrutynib w leczeniu chorych na przewlekłą białaczkę limfocytową (ICD-10: C91.1)”. Wenetoklaks jest finansowany w ramach programu lekowego B.103 „Leczenie chorych na przewlekłą białaczkę limfocytową wenetoklaksem lub wenetoklaksem w skojarzeniu z rytuksymabem (ICD-10: C91.1)”. Metyloprednizolon w ramach refundacji aptecznej, rytuksymab w ramach katalogu chemioterapii. Zgodnie z art. 47d ust 1 ustawy o świadczeniach ocenianą technologią lekową można zastosować, jeżeli u danego pacjenta zostały wyczerpane wszystkie możliwe do zastosowania w danym wskazaniu dostępne technologie medyczne finansowane ze środków publicznych. Biorąc pod uwagę ww. zapis, oraz odnalezione wytyczne kliniczne można stwierdzić, że dla ocenianej technologii lekowej nie ma technologii alternatywnej, rozumianej jako aktywne leczenie.

Podsumowanie

Wniosek dotyczy osoby z PBL i mutacją TP53 leczonej dotychczas nieskutecznie wieloma liniami leczenia. Dostępne dane wskazują, że inhibitory kinazy 3-fosfatydilinozytolu, do których zalicza się idelalizumab wykazują się skutecznością w leczeniu opornej na leczenie PBL oraz są rekomendowane w tej populacji pacjentów przez wytyczne kliniczne. Finansowanie produktu Zydelig we wnioskowanym wskazaniu można zatem uznać za zasadne.

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.), opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych nr: OT.422.39.2020 „Zydelig (idelalizumab) we wskazaniu: przewlekła białaczka limfocytowa (ICD-10: C91.1)”. Data ukończenia: 6 maja 2020 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone kolorem czarnym stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców Gilead Sciences Ireland UC.

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Gilead Sciences Ireland UC 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: Gilead Sciences Ireland UC.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

**Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 31/2020 z dnia 11 maja 2020 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku Firdapse
(amifampridinum) we wskazaniu: zespół miasteniczny Lamberta-
Eatona**

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację sprowadzanego z zagranicy, w ramach importu docelowego, leku Firdapse (amifampridinum), tabletki á 10 mg, we wskazaniu: zespół miasteniczny Lamberta-Eatona, pod warunkiem, że cena leku nie będzie wyższa od podanej we wniosku refundacyjnym.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Zespół miasteniczny Lamberta-Eatona (LEMS) to bardzo rzadka choroba autoimmunologiczna wywołana przez przeciwciała skierowane przeciwko zależnym od napięcia kanałom wapniowym w błonie presynaptycznej złącza nerwowo-mięśniowego. Według portalu orpha.net szacunkowa częstość występowania zespołu miastenicznego Lamberta i Eatona na świecie wynosi 1/250 000–1/330 000. Produkt Firdapse (fosforan amifamprydyny) posiada pozwolenie na dopuszczenie do obrotu na terenie Unii Europejskiej wydane przez Europejską Agencję Leków. Obecnie produkt ten nie jest dostępny w obrocie na terytorium Rzeczypospolitej Polskiej, ale może być sprowadzony z zagranicy zgodnie z art. 4 ustawy z dn. 6 września 2001 roku Prawo farmaceutyczne (Dz.U. z 2019 r., poz. 499, z późn. zm.). Produkt leczniczy Firdapse był przedmiotem oceny Agencji w 2018 roku. Zarówno Rada Przejrzystości, jak i Prezes Agencji uznali za zasadne objęcie refundacją leku Firdapse we wskazaniu zespół miasteniczny Lamberta-Eatona, pod warunkiem obniżenia ceny produktu. Wnioskowane wskazanie jest zgodne ze wskazaniem rejestracyjnym.

Dowody naukowe

Wyniki wszystkich badań wskazują, że zastosowanie 3,4-DAP u chorych z LEMS skutkuje uzyskaniem istotnie statystycznie lepszych wyników na koniec badania we wszystkich pierwszorzędowych punktach końcowych w porównaniu ze stosowaniem placebo. CHMP oprócz oceny dokumentacji rejestracyjnej



(pozytywna) co roku dokonuje ponownej oceny stosunku korzyści do ryzyka stosowania Firdapse, ponieważ produkt został zarejestrowany w procedurze „exceptional circumstances”. W 2019 produkt przeszedł pozytywnie procedurę re-rejestracji.

U chorych z LEMS w przebiegu raka płuca podstawowym postępowaniem jest leczenie nowotworu. Zgodnie z opinią eksperta u pozostałych chorych lek może znaleźć zastosowanie po wykluczeniu tych, którzy pozytywnie odpowiadają na inne metody leczenia.

Problem ekonomiczny

Przy uwzględnieniu aktualnej ceny w Stanach Zjednoczonych, roczny koszt terapii lekiem Firdapse jednego pacjenta jest skrajnie wysoki i wyniesie 1,7 mln zł, a 26 pacjentów 44,6 mln zł. Należy jednak zauważyć, że przy uwzględnieniu ceny zaproponowanej we wniosku refundacyjnym z 2018 r. roczny koszt terapii lekiem Firdapse jednego pacjenta wynosił [REDAKTOWANE], a 26 pacjentów [REDAKTOWANE]

Główne argumenty decyzji

Wyniki wszystkich badań wskazują, że zastosowanie 3,4-DAP u chorych z LEMS skutkuje uzyskaniem istotnie statystycznie lepszych wyników na koniec badania we wszystkich pierwszorzędowych punktach końcowych w porównaniu ze stosowaniem placebo. Odnaleziono wytyczne kliniczne wskazują, że 3,4-diaminopirydyna powinna stanowić leczenie pierwszego rzutu i jest zalecana jako leczenie objawowe. Brak zarejestrowanych alternatywnych interwencji ukierunkowanych na leczenie LEMS.

Uwaga Rady

Rada zwraca uwagę na trudne do przewidzenia obciążenie budżetu płatnika publicznego, ze względu na niepewność dotyczącą kosztu sprowadzanego produktu leczniczego oraz znaczące zmiany w szacowanym rocznym koszcie terapii.

Rada uważa, że sprowadzanie leku z zagranicy jest zasadne, pod warunkiem, że jego cena nie będzie wyższa do wskazanej we wcześniej opiniowanym wniosku refundacyjnym.

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 2020 r., poz. 357), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności wydawania zgody na refundację nr: OT.4311.3.2020 „Firdapse (amifamprydyna) we wskazaniu: zespół miasteniczny Lamberta-Eatona”. Data ukończenia: 6 maja 2020 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone kolorem czarnym stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców BioMarin International Limited.

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem BioMarin International Limited 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: BioMarin International Limited.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 105/2020 z dnia 11 maja 2020 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną teriflunomidum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj. leczenie pacjentów w wieku od 12 lat

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną teriflunomidum we wskazaniach pozarejestacyjnych: leczenie pacjentów w wieku od 12 lat, w ramach programu lekowego B.29 „Leczenie stwardnienia rozsianego (ICD-10 G35)”.

Uzasadnienie

W dniu 12 czerwca 2017 r. Rada Przejrzystości wydała pozytywną opinię w sprawie objęcia refundacją leków zawierających teryflunomid w leczeniu pacjentów ze stwardnieniem rozsianym w wieku od 12 lat. Jak podkreślono, wprawdzie nie określono bezpieczeństwa i skuteczności stosowania leków zawierających tę substancję czynną u dzieci od 12 roku życia, jednak niektóre towarzystwa neurologiczne dopuszczają możliwość leczenia dzieci z SM w wieku <16 lat, pod warunkiem, iż będzie ono prowadzone w specjalnych klinikach pod opieką zespołu lekarskiego składającego się z neurologów i neurologów dziecięcych, mających doświadczenie w leczeniu SM. Odnotowano brak randomizowanych badań klinicznych dotyczących stosowania ocenianej substancji w populacji pediatrycznej, jest więc istotne, aby chorzy (opiekunowie) mieli możliwość zapoznania się z aktualnym stanem wiedzy przed podjęciem decyzji o rozpoczęciu terapii.

Program lekowy B.29 „Leczenie stwardnienia rozsianego (ICD-10 G35)” od 1 września 2017 r. przewiduje leczenie teryflunomidem pacjentów w wieku od 12 roku życia, z zastrzeżeniem, że pacjentów w wieku poniżej 18 roku życia kwalifikuje się do leczenia wyłącznie w ośrodkach zapewniających leczenie pod opieką zespołów lekarskich składających się z neurologów i neurologów dziecięcych, posiadających doświadczenie w leczeniu SM, a także pod warunkiem przekazania opiekunom chorych/chorym kwalifikowanym do terapii pisemnej informacji na temat aktualnego stanu wiedzy na temat bezpieczeństwa



i skuteczności stosowania leku w tej grupie wiekowej oraz po uzyskaniu pisemnej, świadomej zgody na jego zastosowanie.

W przygotowanym obecnie przez AOTMiT raporcie, stanowiącym aktualizację przeglądu przeprowadzonego w 2017 roku, odnaleziono dwa badania obserwacyjne, opisane w trzech publikacjach: Baroncini 2018, Krysko 2020 i Krysko 2018. W badaniu Baroncini 2018 nie podawano jednak wyników w podziale na substancje czynne, natomiast w publikacjach Krysko 2020/2018 jedynie 2-3 pacjentów stosowało teryflunomid. Odnaleziono ponadto informację, że zakończone zostało zbieranie danych dla pierwszorzędnego punktu końcowego w badaniu RCT TERIKIDS (teryflunomid vs. placebo). Zakończenie badania zaplanowano na 29.09.2021 r.

Odnalezione rekomendacje NHS 2019, zawierające algorytm postępowania w terapiach modyfikujących przebieg stwardnienia rozsianego, przewidują, że terapie takie mogą być zastosowane u dzieci jedynie gdy:

- są zarejestrowane do stosowania u dzieci lub*
- mają rozpoznaną zalecaną dawkę, którą można zastosować u dzieci, lub*
- dziecko jest w wieku dojrzewania (leczenie dzieci w okresie dojrzewania z SM powinno odbywać się w specjalistycznych ośrodkach).*

Należy przypomnieć, że polskie wytyczne PTN 2016 zalecają w ramach leczenia postaci rzutowo-remisyjnej stosowanie leków modyfikujących przebieg SM, do których jako leki I linii leczenia zalicza się interferon beta, octan glatirameru, fumaran dimetylu, teryflunomid i alemtuzumab. Większość leków zarejestrowanych do stosowania w SM nie była badana w populacji dziecięcej. Według opinii autorów zaleceń wszystkie wymienione leki mogą być stosowane u dzieci między 16 a 18 rokiem życia. Leczenie młodszych dzieci powinno być prowadzone przez neurologów dziecięcych posiadających doświadczenie w tym zakresie. Podobne zalecenia zawarto w wytycznych brytyjskich ABN 2015. Konsultant Krajowy w dziedzinie neurologii dziecięcej wskazał w swojej opinii z 2020 r., że w Polsce nie prowadzono badań epidemiologicznych dotyczących występowania SM u dzieci. Szacuje się, że chorych na SM jest łącznie około 50 tysięcy, z czego 3-10 % to dzieci. Do około 20-30 % jest leczonych nieskutecznie zarejestrowanymi i refundowanymi lekami I rzutu. Z tego 5-10 % można leczyć lekami, których dotyczy opinia, tj. zawierającymi teryflunomidum, dimethylis fumaras lub peginterferonum beta-1a.

W świetle danych NFZ, dotyczących funkcjonowania programu lekowego B.29 lekami zawierającymi teryflunomid w 2018 r. było leczonych 2 pacjentów w wieku 12-18 lat, a w pierwszym półroczu 2019 r. – 3.

Reasumując, Rada Przejrzystości uznaje za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną teryflunomid w leczeniu pacjentów w wieku od 12 lat w ramach programu lekowego B.29.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2020 r., poz. 357), 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 opracowania na potrzeby oceny zasadności dalszego finansowania leków we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystykach Produktów Leczniczych nr: OT.4321.69.2019 (aneks do opracowania nr OT.434.21.2017) „Teryflunomid, fumaran dimetylu, peginterferon beta-1a we wskazaniu leczenie pacjentów w wieku do 12 lat w ramach programu lekowego B.29 »Leczenie stwardnienia rozsianego (ICD-10 G35)«”. Data ukończenia: 4.04.2020 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

**Opinia Rady Przejrzystości
nr 106/2020 z dnia 11 maja 2020 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną
dimethylis fumaras w zakresie wskazań do stosowania
lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone
w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj. leczenie pacjentów
w wieku od 12 lat**

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną dimethylis fumaras we wskazaniach pozarejestacyjnych: leczenie pacjentów w wieku od 12 lat, w ramach programu lekowego B.29 „Leczenie stwardnienia rozsianego (ICD-10 G35)”.

Uzasadnienie

W dniu 12 czerwca 2017 r. Rada Przejrzystości wydała pozytywną opinię w sprawie objęcia refundacją leków zawierających fumaran dimetylu w leczeniu pacjentów ze stwardnieniem rozsianym w wieku od 12 lat. Jak podkreślono, wprawdzie nie określono bezpieczeństwa i skuteczności stosowania leków zawierających tę substancję czynną u dzieci od 12 roku życia, jednak niektóre towarzystwa neurologiczne dopuszczają możliwość leczenia dzieci z SM w wieku <16 lat, pod warunkiem, iż będzie ono prowadzone w specjalnych klinikach pod opieką zespołu lekarskiego, składającego się z neurologów i neurologów dziecięcych mających doświadczenie w leczeniu SM. Odnotowano brak randomizowanych badań klinicznych dotyczących stosowania ocenianej substancji w populacji pediatrycznej, jest więc istotne, aby chorzy (opiekunowie) mieli możliwość zapoznania się z aktualnym stanem wiedzy przed podjęciem decyzji o rozpoczęciu terapii.

Program lekowy B.29 „Leczenie stwardnienia rozsianego (ICD-10 G35)” od 1 września 2017 r. przewiduje leczenie fumaranem dimetylu pacjentów w wieku od 12 roku życia, z zastrzeżeniem, że pacjentów w wieku poniżej 18 roku życia kwalifikuje się do leczenia wyłącznie w ośrodkach zapewniających leczenie pod opieką zespołów lekarskich, składających się z neurologów i neurologów dziecięcych posiadających doświadczenie w leczeniu SM, a także pod warunkiem przekazania opiekunom chorych/chorym kwalifikowanym do terapii pisemnej informacji na temat aktualnego stanu wiedzy na temat bezpieczeństwa



i skuteczności stosowania leku w tej grupie wiekowej oraz po uzyskaniu pisemnej, świadomej zgody na jego zastosowanie.

W przygotowanym obecnie przez AOTMiT raporcie, aktualizującym informacje zebrane w trakcie poprzednich wyszukiwani, przedstawiono jedno pierwotne badanie 2. fazy FOCUS (Alroughani 2018 + poster), w którym badano skuteczność i bezpieczeństwo fumaranu dimetylu w populacji pacjentów od 10 do 17 r.ż. (n = 22) z postacią rzutowo-remisyjną SM. Pierwszorzędownym punktem końcowym były nowe lub nowo powiększające się zmiany hiperintensywne na obrazach T2-zależnych w MRI pomiędzy pierwszymi i ostatnimi ośmioma tygodniami badania. Do tej analizy włączono 15 pacjentów. Mediana długości terapii fumaranem dimetylu wyniosła 172 dni. Średni wynik (zmiana on treatment vs. baseline) dla pierwszorzędownego punktu końcowego wyniósł -7,9 (SE 4,2), mediana - 2,0 (90% CI od - 8,0 do -1,5; p-value = 0,009). Średnia dla pierwszych 8 tygodni obserwacji, podczas których nie podawano fumaranu dimetylu, wyniosła ok. 7,5. Średnia dla okresu leczenia to ok. 2,5. Żadnego z poważnych zdarzeń niepożądanych nie zakwalifikowano jako związanego ze stosowaniem fumaranu dimetylu.

Dodatkowo odnaleziono informację o trwającym badaniu RCT CONNECT (fumaran dimetylu vs. interferon beta-1a). Zakończenie zbierania danych dla pierwszorzędownego punktu końcowego zaplanowano na 25.09.2020 r.

Odnalezione rekomendacje NHS 2019, zawierające algorytm postępowania w terapiach modyfikujących przebieg stwardnienia rozsianego, przewidują, że terapie takie mogą być zastosowane u dzieci jedynie gdy:

- są zarejestrowane do stosowania u dzieci lub*
- mają rozpoznaną zalecaną dawkę, którą można zastosować u dzieci, lub*
- dziecko jest w wieku dojrzewania (leczenie dzieci w okresie dojrzewania z SM powinno odbywać się w specjalistycznych ośrodkach).*

Należy przypomnieć, że polskie wytyczne PTN 2016 zalecają w ramach leczenia postaci rzutowo-remisyjnej stosowanie leków modyfikujących przebieg SM, do których jako leki I linii leczenia zalicza się interferon beta, octan glatirameru, fumaran dimetylu, teryflunomid i alemtuzumab. Większość leków zarejestrowanych do stosowania w SM nie była badana w populacji dziecięcej. Według opinii autorów zaleceń wszystkie wymienione leki mogą być stosowane u dzieci między 16 a 18 rokiem życia. Leczenie młodszych dzieci powinno być prowadzone przez neurologów dziecięcych, posiadających doświadczenie w tym zakresie. Podobne zalecenia zawarto w wytycznych brytyjskich ABN 2015. Konsultant Krajowy w dziedzinie neurologii dziecięcej wskazał w swojej opinii z 2020 r., że w Polsce nie prowadzono badań epidemiologicznych dotyczących występowania SM u dzieci. Szacuje się, że chorych na SM jest łącznie około 50 tysięcy, z czego 3-10 % to dzieci. Do około 20-30 % jest leczonych nieskutecznie

zarejestrowanymi i refundowanymi lekami I rzutu. Z tego 5-10 % można leczyć lekami, których dotyczy opinia, tj. zawierającymi teriflunomidum, dimethylis fumaras lub peginterferonum beta-1a.

W świetle danych NFZ, dotyczących funkcjonowania programu lekowego B.29 lekami zawierającymi fumaran dimetylu w 2018 r. było leczonych 67 pacjentów w wieku 12-18 lat, a w pierwszym półroczu 2019 r. – 82.

Reasumując, Rada Przejrzystości uznaje za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną fumaran dimetylu w leczeniu pacjentów w wieku od 12 lat w ramach programu lekowego B.29.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2020 r., poz. 357), 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 opracowania na potrzeby oceny zasadności dalszego finansowania leków we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystykach Produktów Leczniczych nr: OT.4321.69.2019 (aneks do opracowania nr OT.434.21.2017) „Teryflunomid, fumaran dimetylu, peginterferon beta-1a we wskazaniu leczenie pacjentów w wieku do 12 lat w ramach programu lekowego B.29 »Leczenie stwardnienia rozsianego (ICD-10 G35)«”. Data ukończenia: 4.04.2020 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 107/2020 z dnia 11 maja 2020 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną peginterferonum beta-1a w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj. leczenie pacjentów w wieku od 12 lat

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną peginterferonum beta-1a we wskazaniach pozarejestacyjnych: leczenie pacjentów w wieku od 12 lat, w ramach programu lekowego B.29 „Leczenie stwardnienia rozsianego (ICD-10 G35)”.

Uzasadnienie

W dniu 12 czerwca 2017 r. Rada Przejrzystości wydała pozytywną opinię w sprawie objęcia refundacją leków zawierających peginterferon beta-1a w leczeniu pacjentów ze stwardnieniem rozsianym w wieku od 12 lat. Jak podkreślono, wprowadzić nie określono bezpieczeństwa i skuteczności stosowania leków zawierających tę substancję czynną u dzieci od 12 roku życia, jednak niektóre towarzystwa neurologiczne dopuszczają możliwość leczenia dzieci z SM w wieku <16 lat, pod warunkiem, iż będzie ono prowadzone w specjalnych klinikach pod opieką zespołu lekarskiego, składającego się z neurologów i neurologów dziecięcych mających doświadczenie w leczeniu SM. Odnotowano brak randomizowanych badań klinicznych dotyczących stosowania ocenianej substancji w populacji pediatrycznej, jest więc istotne, aby chorzy (opiekunowie) mieli możliwość zapoznania się z aktualnym stanem wiedzy przed podjęciem decyzji o rozpoczęciu terapii.

Program lekowy B.29 „Leczenie stwardnienia rozsianego (ICD-10 G35)” od 1 września 2017 r. przewiduje leczenie peginterferonem beta-1a pacjentów w wieku od 12 roku życia, z zastrzeżeniem, że pacjentów w wieku poniżej 18 roku życia kwalifikuje się do leczenia wyłącznie w ośrodkach zapewniających leczenie pod opieką zespołów lekarskich, składających się z neurologów i neurologów dziecięcych posiadających doświadczenie w leczeniu SM, a także pod warunkiem przekazania opiekunom chorych/chorym kwalifikowanym do terapii pisemnej informacji na temat aktualnego stanu wiedzy na temat bezpieczeństwa



i skuteczności stosowania leku w tej grupie wiekowej oraz po uzyskaniu pisemnej, świadomej zgody na jego zastosowanie.

W przygotowanym obecnie przez AOTMiT raporcie nie odnaleziono nowych badań zgodnych z kryteriami włączenia dla peginterferonu beta-1a.

Odnalezione rekomendacje NHS 2019, zawierające algorytm postępowania w terapiach modyfikujących przebieg stwardnienia rozsianego, przewidują, że terapie takie mogą być zastosowane u dzieci jedynie gdy:

- są zarejestrowane do stosowania u dzieci lub*
- mają rozpoznaną zalecaną dawkę, którą można zastosować u dzieci, lub*
- dziecko jest w wieku dojrzewania (leczenie dzieci w okresie dojrzewania z SM powinno odbywać się w specjalistycznych ośrodkach).*

Należy przypomnieć, że polskie wytyczne PTN 2016 zalecają w ramach leczenia postaci rzutowo-remisyjnej stosowanie leków modyfikujących przebieg SM, do których jako leki I linii leczenia zalicza się interferon beta, octan glatirameru, fumaran dimetylu, teryflunomid i alemtuzumab. Większość leków zarejestrowanych do stosowania w SM nie była badana w populacji dziecięcej. Według opinii autorów zaleceń wszystkie wymienione leki mogą być stosowane u dzieci między 16 a 18 rokiem życia. Leczenie młodszych dzieci powinno być prowadzone przez neurologów dziecięcych posiadających doświadczenie w tym zakresie.

Konsultant Krajowy w dziedzinie neurologii dziecięcej wskazał w swojej opinii z 2020 r., że w Polsce nie prowadzono badań epidemiologicznych dotyczących występowania SM u dzieci. Szacuje się, że chorych na SM jest łącznie około 50 tysięcy, z czego 3-10 % to dzieci. Do około 20-30 % jest leczonych nieskutecznie zarejestrowanymi i refundowanymi lekami I rzutu. Z tego 5-10 % można leczyć lekami, których dotyczy opinia, tj. zawierającymi teriflunomidum, dimethylis fumaras lub peginterferonum beta-1a.

W świetle danych NFZ, dotyczących funkcjonowania programu lekowego B.29 lekami zawierającymi peginterferon beta-1a w 2018 r. było leczonych 5 pacjentów w wieku 12-18 lat, a w pierwszym półroczu 2019 r. – 3.

Reasumując, Rada Przejrzystości uznaje za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną peginterferon beta-1a w leczeniu pacjentów w wieku od 12 lat w ramach programu lekowego B.29.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2020 r., poz. 357), 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 opracowania na potrzeby oceny zasadności dalszego finansowania leków we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystykach Produktów Leczniczych nr: OT.4321.69.2019 (aneks do opracowania nr OT.434.21.2017) „Teryflunomid, fumaran dimetylu, peginterferon beta-1a we wskazaniu leczenie pacjentów w wieku do 12 lat w ramach programu lekowego B.29 »Leczenie stwardnienia rozsianego (ICD-10 G35)«”. Data ukończenia: 4.04.2020 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości nr 108/2020 z dnia 11 maja 2020 roku o projekcie programu „Program rehabilitacyjny dla pacjentów onkologicznych w wieku 18-64 lata z terenu województwa wielkopolskiego”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program rehabilitacyjny dla pacjentów onkologicznych w wieku 18-64 lata z terenu województwa wielkopolskiego”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

Przedmiotem opinii jest projekt programu polityki zdrowotnej z zakresu rehabilitacji po leczeniu onkologicznym, współfinansowany z Europejskiego Funduszu Społecznego, realizowany na terenie województwa wielkopolskiego. Głównym założeniem projektu programu jest „poprawa sprawności funkcjonalnej u nie mniej niż 30% uczestników programu, a także poprawa kondycji psychicznej i/lub poprawa stanu odżywienia u nie mniej niż 30% uczestników w okresie realizacji programu”. Zakres programu jest zgodny z priorytetem Narodowego Programu Zwalczania Chorób Nowotworowych na lata 2016-2024 („wsparcie procesu leczenia nowotworów oraz edukacja onkologiczna”) oraz Policy Paper dla ochrony zdrowia na lata 2014-2020 (cel operacyjny A, narzędzie 3: „wdrożenie programów rehabilitacji medycznej ułatwiających powroty do pracy”). Zdecydowana większość zaproponowanych interwencji stanowi świadczenia gwarantowane z zakresu rehabilitacji leczniczej. Interwencjami wykraczającymi poza zakres świadczeń gwarantowanych są, przede wszystkim, szkolenia dla personelu medycznego.

Zgodnie z zaleceniami Polskiego Towarzystwa Onkologii Klinicznej z 2013 r. rehabilitacja chorych na nowotwory powinna uwzględniać zasady polskiego modelu rehabilitacji – zakładające jej powszechność, wczesność, ciągłość oraz kompleksowość: projekt programu dobrze wpisuje się w te zalecenia. Również odnalezione rekomendacje zagraniczne (NSF 201729, VHA-DoD 2010) zalecają, aby pacjenci otrzymywali tyle świadczeń terapeutycznych ile „potrzebują” i są w stanie tolerować, aby przystosować, odzyskać i/lub wrócić do optymalnego osiągnięcia niezależności funkcjonowania.



Zgodnie z treścią projektu, populację docelową programu stanowić mają mieszkańcy województwa wielkopolskiego w wieku 18-64 lata w trakcie lub po leczeniu onkologicznym. Kryteria włączenia uczestników do planowanych interwencji są zadowalająco opisane w projekcie. Z programu będzie mogło skorzystać ok. 2000 osób, co stanowić ma ok. 11,76% populacji kwalifikującej się do programu. Do udziału we wsparciu oferowanym w ramach programu zaproszone zostaną osoby z najbliższego otoczenia pacjenta oraz (w zakresie szkoleń) fizjoterapeuci, psychologowie i dietetycy. Program zakłada również wsparcie psychologiczne i edukacje pacjentów. Jedną z dostępnych interwencji będzie też poradnictwo dietetyczne. Wnioskodawca zaplanował utworzenie Centrum Referencyjnego, które będzie podstawowym miejscem udzielania świadczeń. Program będzie realizowany również w 4 filiach na terenie województwa, w celu zapewnienia równego dostępu do świadczeń. Projekt programu zakłada przeprowadzenie jego monitorowania i ewaluacji.

Realizator programu zostanie wyłoniony w drodze konkursu ofert, co pozostaje w zgodzie z zapisami ustawowymi. Łączny koszt wszystkich kategorii działań wyniesie ok. 14 000 000 zł. Program ma być współfinansowany ze środków Europejskiego Funduszu Społecznego (85% wartości projektu), budżetu państwa i środków własnych beneficjenta (min. 5%). Szczegółowe uwagi dotyczące poszczególnych elementów projektu 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.441.29.2020 „Program rehabilitacyjny dla pacjentów onkologicznych w wieku 18-64 lata z terenu województwa wielkopolskiego” realizowany przez: województwo wielkopolskie, Warszawa, maj 2020 oraz Aneksów „Programy z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży – wspólne podstawy oceny” z sierpnia 2016, „Programy w zakresie rehabilitacji psychofizycznej kobiet po amputacji piersi – wspólne podstawy oceny” ze stycznia 2019.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości nr 109/2020 z dnia 11 maja 2020 roku o projekcie programu „Leczenie niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego – in vitro dla mieszkańców Gminy Nowogard w latach 2020-2022”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Leczenie niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego – in vitro dla mieszkańców Gminy Nowogard w latach 2020-2022”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady i zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

Populację docelową będą stanowić pary (wiek kobiet: 20-40 lat), u których stwierdzono niepłodność kobiety i/lub mężczyzny i wyczerpały się lub nie istnieją inne metody jej leczenia. Liczebność populacji docelowej oszacowano na 23 pary, z czego ok. 10% wymagające zastosowania metod wspomaganego rozrodu z wykorzystaniem dawstwa innego niż partnerskie (zapłodnienie pozaustrojowe z żeńskimi lub męskimi komórkami rozrodczymi, adopcja zarodka).

Wnioskodawca nie wskazał liczby cykli zapłodnienia pozaustrojowego zakończonego transferem zarodka, z których będzie możliwość skorzystania w związku z udziałem w programie. Biorąc pod uwagę koszt całkowity i koszt pojedynczego cyklu, można jednak wnioskować, że możliwe będzie przeprowadzenie jednej procedury zapłodnienia dla każdej pary. Wnioskodawca podkreśla, że przy realizacji programu zastosowanie mają przepisy ustawy z dnia 25 czerwca 2015 r. o leczeniu niepłodności. Wnioskodawca wskazał, że uczestnikom programu będzie przysługiwać dofinansowanie do procedury zapłodnienia pozaustrojowego w wysokości 10 000 zł – w tym zakresie program będzie finansowany ze środków budżetu gminy Nowogard. W programie zaznaczono, że pacjentki, u których zaistnieje konieczność przechowywania (kriokonserwacji) komórek jajowych i/lub zarodków uzyskanych w efekcie zabiegu, poniosą koszty ich przechowywania i późniejszego zastosowania. Koszty te nie będą dofinansowane w ramach niniejszego programu, pozostając kosztami własnymi par.

Zaplanowana przez wnioskodawcę procedura zapłodnienia pozaustrojowego IVF ma udowodnioną, najwyższą skuteczność spośród wszystkich metod



wspomagane go rozrodu. Leczenie niepłodności w drodze zapłodnienia pozaustrojowego nie jest obecnie w Polsce finansowane w ramach świadczeń gwarantowanych. Eksperci zwracają uwagę na fakt, iż istnieje wiele sytuacji klinicznych w leczeniu niepłodności, w których dla zapłodnienia pozaustrojowego nie ma alternatywy terapeutycznej.

Programy polityki zdrowotnej z zakresu medycyny rozrodu ze szczególnym uwzględnieniem programów dotyczących leczenia niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego były już przedmiotem opinii Rady i Prezesa Agencji. Wydane opinie były w większości pozytywne lub warunkowo pozytywne. Wydając opinię pozytywną Rada Przejrzystości podkreśla, że programy leczenia niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego – *in vitro* powinny:

- zapewniać przejrzyste zasady sprawiedliwego dostępu do programu;
- zapewniać odpowiednie poradnictwo parom biorącym udział w programie (m.in. kwestie ryzyka związanego z udziałem w programie, w celu umożliwienia podjęcia świadomej decyzji),
- stwarzać obowiązek szczegółowego informowania beneficjentów o procedurze kriokonserwacji i zasadach jej finansowania, w tym wskazanie liczby komórek jajowych poddawanych zapłodnieniu, pozwalającej określić liczbę zarodków nadliczbowych poddawanych kriokonserwacji,
- określać postępowanie z kriokonserwowanymi zarodkami po zakończeniu projektu, na wypadek zakończenia działalności biobanku lub po upływie 20 lat ustawowego obowiązku kriokonserwacji,
- stwarzać możliwości skorzystania przez pary z procedury kriokonserwacji komórek jajowych zamiast kriokonserwacji embryonów.

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.441.28.2020 „Leczenie niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego – *in vitro* dla mieszkańców Gminy Nowogard w latach 2020-2022” realizowany przez: Gminę Nowogard, Warszawa, maj 2020 oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy z zakresu leczenia niepłodności technikami wspomaganego rozrodu (ART) – wspólne podstawy oceny”, styczeń 2018 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości nr 110/2020 z dnia 11 maja 2020 roku o projekcie programu „Program Polityki Zdrowotnej w zakresie profilaktyki i wczesnego wykrywania raka piersi dla mieszkanek Gminy Białe Błota na lata 2020-2025”

Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program Polityki Zdrowotnej w zakresie profilaktyki i wczesnego wykrywania raka piersi dla mieszkanek Gminy Białe Błota na lata 2020-2025”.

Uzasadnienie

Program polityki zdrowotnej ma być realizowany na terenie gminy Białe Błota i zaplanowany jest rok 2020-25. Zakres programu wpisuje się w następujący priorytet „zmniejszenie zachorowalności i przedwczesnej umieralności z powodu nowotworów złośliwych” należący do priorytetów zdrowotnych wymienionych w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 27 lutego 2018 r. (Dz. U. 2018 poz. 469).

W ramach programu zaplanowano: akcję informacyjno-edukacyjną, edukację, w tym instruktaż samobadania piersi, badanie mammograficzne.

Populację docelową programu stanowią kobiety w wieku 39-49 r.ż., zamieszkujące na terenie gminy Białe Błota, u których w ciągu ostatnich 2 lat nie wykonywano mammografii i nie zdiagnozowano u nich nigdy nowotworu piersi oraz nie są w ciąży. Program ma stanowić uzupełnienie finansowanego przez NFZ¹ populacyjnego programu badań przesiewowych w kierunku raka piersi dla kobiet w wieku 50-69 lat, obejmując badaniem mammograficznym kobiety przed 50 r.ż.

Zgodnie z rekomendacjami/wytycznymi w przedmiotowym zakresie, zaleca się przeprowadzanie edukacji zdrowotnej kobiet, dotyczącej przede wszystkim wczesnego rozpoznawania u siebie oznak mogących świadczyć o rozwijającej się chorobie nowotworowej (ACS 2015, ACOG 2011, NCCN 2011, PTG 2005). Tak więc przeprowadzenie interwencji pod postacią działań edukacyjnych wraz z instruktażem badania piersi należy uznać za zasadne.

¹ NFZ (2020). Dane o realizacji programów profilaktycznych – mammografia. Pozyskano z: <http://www.nfz.gov.pl/dla-pacjenta/programy-profilaktyczne/dane-o-realizacji-programow/>, dostęp z 02.04.2020



Mammografia jest rekomendowanym badaniem przesiewowym w kierunku nowotworów piersi (ACS 2015, Prescrire International 2015, WHO 2014, SEOM 2014, PTOK 2013, MZ/COIMSC 2013, ESMO 2013, NICE 2013, ACOG 2011, NCCN 2011, ACR 2011, CTFPHC 2011, NCI 2010, PTG 2005). Zdecydowana większość odnalezionych zaleceń odnosi się jednak pozytywnie do wykonywania mammografii u kobiet w wieku 50-74 lata (również UK NSC 2012 wskazuje na zasadność prowadzenia skryningu populacyjnego wśród kobiet po 50. roku życia). Niektóre wytyczne dopuszczają prowadzenie ww. badań także u kobiet między 40. a 49. r.ż. Zgodnie z USPSTF 2016 oraz AAFP 2016 udział w przesiewowych badaniach mammograficznych w przypadku kobiet w wieku 40-49 lat powinien być decyzją indywidualną. Podobne stanowisko wydało także Prescrire International 2015 podkreślając, że to do kobiety powinna należeć decyzja o udziale w przesiewowym badaniu mammograficznym (przy czym decyzja ta powinna być w pełni świadoma oraz podjęta wspólnie z lekarzem, który poinformuje pacjentkę o korzyściach oraz ryzyku związanym z udziałem w omawianym badaniu). Autorzy przeglądu Cochrane Collaboration (2009) konkludują, że prowadzenie skryningu prawdopodobnie zmniejsza umieralność na raka piersi, a wielkość redukcji ryzyka można szacować na 15%. Na każde 2 000 kobiet badanych przesiewowo w ciągu 10 lat, życie jednej zostanie przedłużone, 10 kobiet będzie niepotrzebnie leczonych, a ponad 200 kobiet doświadczy poważnego, trwającego wiele miesięcy obciążenia emocjonalnego wskutek fałszywie dodatniego wyniku mammografii.

Badanie mammograficzne jest świadczeniem gwarantowanym i można je wykonać na zlecenie lekarza ambulatoryjnej opieki specjalistycznej, również u kobiet w wieku wskazywanym w ocenianym programie. W ocenie ekspertów rola jednostek samorządów terytorialnych powinna się skupiać na prowadzeniu przez nich działań edukacyjnych dotyczących profilaktyki raka piersi oraz promujących uczestnictwo w Populacyjnym Programie Wczesnego Wykrywania Raka Piersi. Obecnie określona populacja docelowa populacyjnego programu przesiewowego (50-69 lat) i interwał między turami badania (2 lata) jest wzorcowym rozwiązaniem, natomiast wdrażanie skryningu mammograficznego w innych grupach wiekowych może prowadzić do zjawiska nadrozpoznowalności („overdiagnosis”). W gminie Białe Błota z populacyjnego programu badań przesiewowych w kierunku raka piersi dla kobiet w wieku 50-69 lat skorzystało łącznie (stan na 01.03.2020 r.) ok. 46,62% kwalifikujących się mieszkanek.

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.441.30.2020 „Program Polityki Zdrowotnej w zakresie profilaktyki i wczesnego wykrywania raka piersi dla mieszkank Gminy Białe Błota na lata 2020-2025” realizowany przez: Gminę Białe Błota, Warszawa, maj 2020 oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy profilaktyki raka piersi – wspólne podstawy oceny” z czerwca 2015 r.



Rada **Przejrzystości**

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

**Opinia Rady Przejrzystości
nr 111/2020 z dnia 11 maja 2020 roku
o projekcie programu „Program Polityki Zdrowotnej w zakresie
profilaktyki i wczesnego wykrywania raka gruczołu krokowego –
prostaty dla mężczyzn zamieszkałych na terenie Gminy Białe Błota
na lata 2020-2025”**

Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program Polityki Zdrowotnej w zakresie profilaktyki i wczesnego wykrywania raka gruczołu krokowego – prostaty dla mężczyzn zamieszkałych na terenie Gminy Białe Błota na lata 2020-2025”.

Uzasadnienie

Program polityki zdrowotnej ma być realizowany na terenie gminy Białe Błota i zaplanowany jest na lata 2020-2025. Zakres programu wpisuje się w następujący priorytet „zmniejszenie zachorowalności i przedwczesnej umieralności z powodu nowotworów złośliwych” należący do priorytetów zdrowotnych wymienionych w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 27 lutego 2018 r. (Dz. U. 2018 poz. 469).

W ramach programu zaplanowano: badanie PSA, konsultację urologiczną wraz z badaniem per rectum i działania edukacyjno-informacyjne. Populację docelową programu stanowią mężczyźni powyżej 40 r.ż., zamieszkujący na terenie gminy Białe Błota.

Wszystkie odnalezione rekomendacje wskazują, że prowadzenie badań przesiewowych w kierunku raka gruczołu krokowego w populacji bezobjawowych mężczyzn nie ma uzasadnienia (PTOK 2013, UK NSC 2016, SEOM 2016, ESMO 2015, 2016, Prescrire 2013, 2012, 2009, Cancer Council Australia i NHMRC 2016, RACGP 2016, CTFPHC 2014, ACP 2013, NZGG 2013, USPSTF 2012, ICSI 2012, ACPM 2008). Wytyczne (ACS 2010, 2016, ACP 2013, AUA 2013, NHMRC 2016) oraz eksperci w przesłanych opiniach zwracają uwagę, że warto skoncentrować się na realizacji programów skryningu oportunistycznego. Wymaga to jednak prowadzenia szeroko zakrojonego postępowania informacyjnego zwiększającego świadomość zdrowotną społeczeństwa. ACS w swoich rekomendacjach z 2010 i 2016 r. zaleca, aby informacje o możliwości realizacji takiego badania przekazywane były pacjentom w wieku od 50 lat. Pacjenci



o podwyższonym ryzyku zachorowania na raka prostaty (w warunkach polskich przede wszystkim pokrewieństwo pierwszego stopnia z mężczyzną z rakiem stercza zdiagnozowanym przed 65 r.ż.) powinni otrzymać tę informację w wieku 45 lat (ACS 2010, 2016, NHMRC 2016), zaś pacjenci o znacznym ryzyku choroby (rodziny, w przypadku których u wielu najbliższych członków, np. ojca i dwóch braci został zdiagnozowany rak stercza przed 65 r.ż.) powinni otrzymać tę informację w wieku 40 lat (ACS 2010, 2016, NHMRC 2016).

Dotychczasowo Rada Przejrzystości oceniając projekty programów polityki zdrowotnej z zakresu profilaktyki raka gruczołu krokowego wydawała opinie negatywne, argumentując, że brak jest dowodów naukowych na skuteczność stosowania skrynnigowego testu PSA u zdrowych mężczyzn nie obciążonych rodzinnymi czynnikami ryzyka, a ze względu na wysoki wskaźnik wyników fałszywie pozytywnych, dodatkowo naraża ich na niepotrzebny strach, ból i cierpienie.

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.441.31.2020 „Program Polityki Zdrowotnej w zakresie profilaktyki i wczesnego wykrywania raka gruczołu krokowego – prostaty dla mężczyzn zamieszkałych na terenie Gminy Białe Błota na lata 2020-2025” realizowany przez: Gminę Białe Błota, Warszawa, maj 2020 oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy wczesnego wykrywania raka gruczołu krokowego – wspólne podstawy oceny”, grudzień 2018.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 112/2020 z dnia 11 maja 2020 roku

o projekcie programu „Program Polityki Zdrowotnej w zakresie walki z otyłością wśród uczniów klas I-VIII Szkół Podstawowych na terenie Gminy Białe Błota w latach 2020-2025”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program Polityki Zdrowotnej w zakresie walki z otyłością wśród uczniów klas I-VIII Szkół Podstawowych na terenie Gminy Białe Błota w latach 2020-2025”, pod warunkiem wprowadzenia zmian dotyczących ewaluacji programu, jakości realizowanych świadczeń oraz uszczegółowienia jego kosztów.

Uzasadnienie

Program PZ realizowany z budżetu gminy zaplanowano na lata 2020-2025. Obejmować ma badania antropometryczne, działania edukacyjne oraz konsultacje indywidualne i grupowe całej objętej programem populacji. Konsultacje planowane są z lekarzem, psychologiem, dietetykiem oraz specjalistą aktywności fizycznej. Planowane interwencje są zasadne z punktu widzenia dowodów naukowych i aktualnych rekomendacji.

Ocena jakości planowanych świadczeń nie została uwzględniona w projekcie programu.

W opisie efektywności programu zaplanowano 4 mierniki, spośród których jeden nie spełnia kryteriów dla miernika efektywności, a żaden nie odnosi się do efektywności działań edukacyjnych realizowanych w ramach tego PPZ. Wnioskodawca wskazał, że wysokość środków zaplanowanych w roku szkolnym 2020/2021 wynosi 40 000 zł dla populacji 2279 dzieci w tej gminie.

Biorąc pod uwagę ceny rynkowe zaplanowanych działań, wskazane koszty w 2020/2021 roku wydają się być zdecydowanie zaniżone.



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.441.32.2020 „Program Polityki Zdrowotnej w zakresie walki z otyłością wśród uczniów klas I-VIII Szkół Podstawowych na terenie Gminy Białe Błota w latach 2020-2025” realizowany przez: Gminę Białe Błota, Warszawa, maj 2020 r. oraz Raportu nr OT.423.2.2018 „Profilaktyka nadwagi oraz otyłości wśród dzieci i młodzieży w ramach programów polityki zdrowotnej” z kwietnia 2019 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 113/2020 z dnia 11 maja 2020 roku

o projekcie programu „Program Polityki Zdrowotnej w zakresie zwiększenia aktywności fizycznej i obniżenia skali występowania wad postawy u uczniów klas I-III Szkół Podstawowych na terenie Gminy Białe Błota na lata 2020-2025”

Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program Polityki Zdrowotnej w zakresie zwiększenia aktywności fizycznej i obniżenia skali występowania wad postawy u uczniów klas I-III Szkół Podstawowych na terenie Gminy Białe Błota na lata 2020-2025”.

Uzasadnienie

Planowanym celem głównym programu jest zmniejszenie liczby dzieci i młodzieży na terenie Gminy Białe Błota z wadami postawy oraz ograniczenie następstw wad postawy ciała. Programem mają zostać objęte dzieci uczęszczające do klas I - III publicznych szkół podstawowych z terenu gminy Białe Błota (840 uczniów), ich rodzice/opiekunowie prawni oraz nauczyciele wychowania początkowego i wychowania fizycznego (ok. 1600 osób).

W ramach programu zaplanowano realizację następujących interwencji:

- a) edukacja z zakresu profilaktyki i korekty wad postawy dla rodziców/opiekunów uczniów klas I - III (podczas spotkań klasowych), a także dla nauczycieli wychowania początkowego oraz wychowania fizycznego,*
- b) badanie przesiewowe (ocena postawy ciała),*
- c) instruktaż uczniów nie wymagających uczęszczania na stałe zajęcia gimnastyki korekcyjnej w zakresie ćwiczeń niezbędnych do wykonywania w domu pod nadzorem rodziców,*
- d) zajęcia korekcyjne dla dzieci i wymagających objęcia regularnymi zajęciami gimnastyki korekcyjnej.*

Programy z zakresu wczesnego wykrywania wad postawy w większości opiniowano negatywnie. W przeglądzie systematycznym Montgomery 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.

Ponadto, należy podkreślić, że rekomendacje/wytyczne dotyczące wad postawy różnią się co do zaleceń w zakresie zasadności przeprowadzania badań w populacji bezobjawowej. USPSTF (2018) stwierdza, że obecne dowody naukowe nie są wystarczające do oceny bilansu korzyści i szkód związanych z przesiewem w kierunku wykrycia skoliozy młodzieńczej u dzieci i młodzieży w wieku od 10 do 18 lat. Ww. stanowisko USPSTF podzielone zostało przez American Academy of Family Physicians z 2018 r. (AAFP 2018).

AAOS, SRS, POSNA i AAP w swoim wspólnym stanowisku (2015) dochodzą do konkluzji, że jeżeli skryning w kierunku wykrycia skoliozy ma być przeprowadzany, to dziewczęta powinny być poddane badaniom dwukrotnie – w wieku 10 i 12 lat, natomiast chłopcy jednokrotnie – w wieku 13 lub 14 lat.

Eksperci kliniczni w swoich opiniach wskazują, że „diagnostyka powinna obejmować dzieci w wieku przedszkolnym 3-6 lat, szczególnie opieki i nadzoru wymagają dzieci i młodzież w okresie pokwitaniowego skoku wzrostowego: dziewczęta 11-14 lat, chłopcy 12-15”.

Mając na uwadze powyższe informacje, założona przez wnioskodawcę populacja docelowa (dzieci w wieku 7-9 lat) nie znajduje odzwierciedlenia w rekomendacjach, dowodach naukowych ani opiniach ekspertów.

Nie odnaleziono żadnych opracowań wtórnych (przeeglądów systematycznych, metaanaliz), badań eksperymentalnych (RCT, badań z pseudorandomizacją, bez randomizacji, badań jednoramiennych) oraz badań obserwacyjnych z grupą kontrolną dot. badania z zastosowaniem podoskopu i podobarografu w kierunku deformacji stóp i wad postawy u dzieci i młodzieży.

Wnioskodawca w treści projektu wskazuje koszt jednostkowy jednej godziny lekcyjnej zajęć gimnastyki, zajęć dla nauczycieli oraz zajęć z rodzicami/opiekunami, który wynosi 80 zł. Nie zaplanowano kosztów pozostałych interwencji, tj. oceny postawy ciała oraz instruktazu uczniów w zakresie ćwiczeń niezbędnych do wykonywania w domu. W związku z tym, że wnioskodawca nie wskazał populacji docelowej, która będzie objęta programem, a także oszacowano jedynie koszt zajęć, nie jest możliwe zweryfikowanie poprawności założeń dotyczących kosztów 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.441.34.2020 „Program Polityki Zdrowotnej w zakresie zwiększenia aktywności fizycznej i obniżenia skali występowania wad postawy u uczniów klas I-III Szkół Podstawowych na terenie Gminy Białe Błota na lata 2020-2025” realizowany przez: Gminę Białe Błota, Warszawa, maj 2020 oraz Aneksu „Programy profilaktyki i korekcji wad postawy u dzieci – wspólne podstawy oceny” z marca 2018 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 114/2020 z dnia 11 maja 2020 roku
o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej dla seniorów
z terenu powiatu nowosolskiego na lata 2020-2021
»Koperta życia – twoje zdrowie, twoje życie«”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej dla seniorów z terenu powiatu nowosolskiego na lata 2020-2021 »Koperta życia – twoje zdrowie, twoje życie«”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.

Uzasadnienie

Program polityki zdrowotnej zaplanowany jest na lata 2020-2021 i skierowany do 1025 mieszkańców powiatu w wieku 65+. Celem głównym jest zwiększenie bezpieczeństwa wśród samotnych i przewlekle chorych mieszkańców z terenu powiatu nowosolskiego w wieku 65 lat i powyżej, poprzez przygotowanie dla służb ratowniczych informacji o stanie zdrowia pacjenta zawartych w „Kopercie życia”, a także wzrost świadomości odpowiedzialności za zdrowie swoje i innych, poprzez edukację w zakresie udzielania pierwszej pomocy przedmedycznej. Populację stanowią będą: samotne, przewlekłe chore, niepełnosprawne osoby w wieku 65 lat i więcej, z terenu powiatu nowosolskiego. Planowana interwencja obejmuje zakup pakietów „koperta życia” oraz przeprowadzenie szkoleń z zakresu udzielania pierwszej pomocy przedmedycznej. Planowane koszty całkowite realizacji programu oszacowano na 40 000 zł.

Do przedstawienia go skłonił problem rosnącej populacji osób starszych, często przewlekle chorych i samotnych. Ratownikom medycznym, przybyłym na pomoc niejednokrotnie brakuje informacji o stanie zdrowia chorego i przyjmowanych lekach. Dzięki programowi, udzielenie pomocy będzie szybsze, łatwiejsze i bardziej efektywne, zwiększając szansę na efektywne postępowanie, ratujące zdrowie i życie. Projekt programu wpisuje się pośrednio w następujące priorytety: „tworzenie warunków sprzyjających utrzymaniu i poprawie zdrowia w środowisku nauki, pracy i zamieszkania” oraz „zwiększenie koordynacji opieki nad pacjentami starszymi, niepełnosprawnymi oraz niesamodzielnymi”, należące



do priorytetów zdrowotnych wymienionych w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 27 lutego 2018 r. (Dz.U. 2018 poz. 469).

Projekt zgodny jest z pojedynczymi dostępnymi rekomendacjami i wytycznymi międzynarodowych organizacji i towarzystw naukowych, wskazującymi na korzyści z posiadania umiejętności pierwszej pomocy, które wymagają szkoleń, powtarzanych co 6-24 miesięcy. Prowadzenie słabych jakościowo czynności ratunkowych jest bardziej efektywne niż ich niepodejmowanie, co dodatkowo przemawia za realizacją programu.

Alvaro Hospital Medical Center (AHMC) 2020, FG Resident Services 2017 i San Luis Obispo County (SLO) – rekomendują, aby wszyscy – zwłaszcza seniorzy – przechowywali kopertę z pełnym pakietem informacji o zdrowiu w lodówce oraz schowku samochodowym. Informacje, które powinna zawierać koperta życia to: karta informacyjna, zdjęcie danej osoby, zapis ostatniego EKG, decyzja o podjęciu lub zaniechaniu zabiegów resuscytacyjnych, inne dokumenty, które, zdaniem pacjenta, mogą okazać się istotne. Karta informacyjna powinna zawierać: imię i nazwisko oraz podstawowe informacje osobiste, imiona i nazwiska lekarzy zaangażowanych w leczenie, wskazanie osoby/osób do kontaktu (podanie nr telefonów), zwięzły opis przyjmowanych leków, przebytych operacji, alergii, listę chorób i zaleceń lekarskich. Koperta życia jest pomocna nie tylko w nagłych przypadkach, ale również podczas standardowych wizyt lekarskich. Podobne działania do opisanych w programie zostały zainicjowane przez Czerwony Krzyż z Stanach Zjednoczonych w roku 1981 i rozpropagowane następnie w formie akcji dobroczynnej. W Kanadzie działa program społecznościowy o nazwie „Vial of Life”, skierowany do seniorów, rodzin i opiekunów.

W wyniku wyszukiwania systematycznego, nie odnaleziono jednak dowodów skuteczności, ani rekomendacji/wytycznych odnoszących się do zasadności stosowania kopert/fiolek życia w populacji osób starszych, poza dwoma abstraktami odnoszącymi się do wdrażania podobnych projektów (Vial of Life – VOL) w osiedlach dla osób starszych. Zarówno cele, jak i mierniki efektywności są trudne do zmierzenia, poza określeniem jak dużo „kopert życia” rozdysponowano i jak dużo osób przeszkolono. Efekty edukacji należy zmierzyć, przeprowadzając sprawdzian wiedzy przed i po szkoleniu.

Wnioskodawca przedstawił zarówno koszt całkowity, jak i koszty jednostkowe planowanych działań. Wnioskodawca oszacował koszt 1 pakietu „koperta życia” na 6 zł. Zaplanowano zakup 1300 takich zestawów za kwotę 7800 zł rocznie. Koszt breloka ratowniczego oszacowano również na 6 zł (1300x6zł = 7800 zł rocznie). Z kolei koszt jednego warsztatu pierwszej pomocy przedmedycznej oszacowano na 300 zł (9 spotkań). Wnioskodawca uwzględnił także koszty działań promocyjnych, które mają wynieść 1700 zł rocznie. Koszt całkowity oszacowany został na 40 000 zł. Program w całości finansowany będzie z budżetu powiatu nowosolskiego.

Pomimo zastrzeżeń formalnych i trudności w ocenie, wydaje się, że przedmiotowy program ma podstawowe zalety: pomaga w udzielaniu pierwszej pomocy i podjęciu decyzji o rodzaju i zasadności postępowania. Świadomość i wiedza przeszkolonych ludzi, aczkolwiek trudna do zmierzenia, może przyczynić się do uratowania zdrowia i życia objętych nim osób.

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.441.33.2020 „Program polityki zdrowotnej dla seniorów z ternu powiatu nowosolskiego na lata 2020-2021 „Koperta życia – twoje zdrowie, twoje życie” realizowany przez: powiat nowosolski, Warszawa, maj 2020 oraz Aneksu „Programy edukacyjne w zakresie pierwszej pomocy przedmedycznej – wspólne podstawy oceny” ze stycznia 2013 i Raportu OT.441.110.2017 z czerwca 2017.