



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

BP.401.24.2020.LAn

**Protokół nr 22/2020  
z posiedzenia Rady Przejrzystości  
w dniu 1 czerwca 2020 roku  
w formie wideokonferencji**

Rafał Niżankowski otworzył posiedzenie o godzinie 10:07.

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. Rafał Niżankowski – prowadził posiedzenie
7. Jakub Pawlikowski
8. Piotr Szymański
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 Revolade (eltrombopag) we wskazaniu: ostra białaczka szpikowa (ICD-10: C92.0) z rozwinięciem choroby GVHD.
3. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Tasigna (nilotinib) we wskazaniu: ostra białaczka limfoblastyczna Ph+ (ICD-10: C91.0) z obecnością mutacji V299LL.
4. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Ewerolimus Stada (ewerolimus) we wskazaniu: rak neuroendokrynyjny jelita cienkiego (ICD-10: C75.9) z przerzutami do wątroby i węzłów chłonnych krezki.
5. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Kanjinti (trastuzumabum) we wskazaniu: rozsiały rak piersi (ICD-10: C50.9) – VII linia leczenia.
6. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Imfinzi (durwalumab) we wskazaniu: niedrobnokomórkowy rak płuca (ICD-10: C34).



7. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego: „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania cukrzycy typu II na lata 2020-2025” (gm. Świerczów).
8. Przygotowanie opinii w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną budesonidum we wskazaniach: indukcja remisji u pacjentów pediatrycznych z łagodną do umiarkowanej, aktywną postacią wrzodziejącego zapalenia jelita grubego, gdzie leczenie preparatami 5-ASA jest niewystarczające; indukcja remisji u pacjentów z łagodną do umiarkowanej, aktywną postacią choroby Leśniowskiego-Crohna z zajęciem jelita grubego, gdzie leczenie preparatami 5-ASA jest niewystarczające.
9. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację sprowadzanego z zagranicy w ramach importu docelowego środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego RenaStart we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek u dzieci w wieku od pierwszego do czwartego roku życia.
10. Przygotowanie opinii w sprawie zalecanych technologii medycznych, działań przeprowadzanych w ramach programów polityki zdrowotnej oraz warunków ich realizacji w zakresie profilaktyki chorób odkleszczowych (boreliozy) wraz z odniesieniem do modelowego rozwiązania pn. „Profilaktyka chorób odkleszczowych (borelioza)”.
11. Zakończenie posiedzenia.

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

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

**Ad 2.** Analityk Agencji podsumował dane z raportu dla leku Revolade (RDTL) we wskazaniu: ostra białaczka szpikowa.

Na posiedzenie dołączył Tomasz Pasierski, który zadeklarował brak konfliktu interesów.

Propozycję opinii przedstawiła Anna Cieślik, a Rada przeprowadziła dyskusję, w której uczestniczyli: Michał Myśliwiec, Tomasz Pasierski, Rafał Niżankowski, Anna Cieślik i Janusz Szyndler.

Z uwagi na konieczność doprecyzowania treści uchwały, Rada podjęła decyzję o przesunięciu głosowania nad opinią na dalszy etap posiedzenia.

**Ad 3.** Analityk Agencji przedstawił najważniejsze informacje dot. leku Tasigna (RDTL) we wskazaniu dot. ostrej białaczki limfoblastycznej Ph+, a propozycję opinii przedstawił Maciej Karaszewski.

W dyskusji Rady głos zabrali: Janusz Szyndler, Adam Maciejczyk, Rafał Niżankowski, Michał Myśliwiec, Piotr Szymański, Maciej Karaszewski i Tomasz Pasierski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 9 głosami „za”, przy 1 głosie „przeciw” (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 1 do protokołu).

**Ad 4.** Analityk Agencji omówił informacje dot. leku Ewerolimus Stada (RDTL) we wskazaniu: rak neuroendokryny jelita cienkiego, a propozycję opinii przedstawił Janusz Szyndler.

Ze strony Rady głos zabrali: Tomasz Pasierski, Rafał Niżankowski i Janusz Szyndler, po czym Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 2 do protokołu).

**Ad 2. cd.** Po uzgodnieniu treści uchwały, w czym udział brali: Rafał Niżankowski, Michał Myśliwiec i Maciej Karaszewski, prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 3 do protokołu).

**Ad 5.** Analitik Agencji przedstawił prezentację dot. leku Kanjinti (RDTL) we wskazaniu: rozsiały rak piersi, a propozycję opinii przedstawił Adam Maciejczyk.

W dyskusji Rady uczestniczyli: Michał Myśliwiec, Adam Maciejczyk, Tomasz Pasierski, Janusz Szyndler, Piotr Szymański, Rafał Niżankowski i Maciej Karaszewski.

Z uwagi na konieczność doprecyzowania treści uchwały, Rada podjęła decyzję o przesunięciu głosowania nad opinią na dalszy etap posiedzenia.

**Ad 6.** Analitik Agencji zaprezentował dane dot. leku Imfinzi (RDTL) we wskazaniu: niedrobnokomórkowy rak płuca, a propozycję opinii przedstawił Tomasz Młynarski.

Rada przeprowadziła dyskusję, w której głos zabrali: Tomasz Pasierski, Rafał Niżankowski, Adam Maciejczyk, Michał Myśliwiec, Tomasz Młynarski, Maciej Karaszewski, Piotr Szymański i Janusz Szyndler.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 4 do protokołu).

**Ad 5. cd.** Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 5 do protokołu).

**Ad 7.** Analitik Agencji omówił najważniejsze kwestie o programie polityki zdrowotnej gminy Świerczów w zakresie cukrzycy typu II, a propozycję opinii przedstawił Rafał Niżankowski.

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

**Ad 8.** Jakub Pawlikowski omówił projekt opinii dot. leków zawierających substancję czynną budesonidum we wskazaniach pozarejestacyjnych.

Głos zabrał Rafał Niżankowski, po czym zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 7 do protokołu).

**Ad 9.** Analitik Agencji zaprezentował dane dot. środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Rena Start, a propozycję opinii przedstawił Michał Myśliwiec.

Wobec braku głosów odmiennych od przedstawionej propozycji stanowiska, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła stanowisko (załącznik nr 8 do protokołu).

**Ad 10.** Analitik Agencji omówił założenia dot. zalecanych technologii medycznych, działań przeprowadzanych w ramach programów polityki zdrowotnej oraz warunków ich realizacji w zakresie profilaktyki chorób odkleszczowych (boreliozy), a propozycję opinii przedstawił Tomasz Pasierski.

W dyskusji Rady uczestniczyli: Rafał Niżankowski, Tomasz Pasierski, Michał Myśliwiec i Jakub Pawlikowski.

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).

**Ad 11.** Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 13:27.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 127/2020 z dnia 1 czerwca 2020 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Tasigna (nilotinib) we wskazaniu: ostra białaczka limfoblastyczna Ph+ (ICD-10: C91.0) z obecnością mutacji V299LL

*Rada Przejrzystości uważa za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Tasigna (nilotinib) kapsułki á 200 mg, we wskazaniu: ostra białaczka limfoblastyczna Ph+ (ICD-10: C91.0) z obecnością mutacji V299LL.*

#### Uzasadnienie

##### Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

*Ostre białaczki limfoblastyczne stanowią heterogenną pod względem cech morfologicznych, immunologicznych, cytogenetycznych i molekularnych grupę złośliwych nowotworowych chorób krwi, które charakteryzują się klonalną proliferacją komórek progenitorowych pochodzących z linii limfocytów B lub T w szpiku kostnym, krwi i innych organach. Klinicznie najważniejsze jest wyróżnienie ALL Ph+ z obecnością translokacji, zwanej chromosomem Philadelphia, której odpowiada obecność fuzji genowej BCR-ABL. Podtyp ostrej białaczki limfoblastycznej z chromosomem Philadelphia powstaje na skutek translokacji na długich ramionach chromosomów 9 i 22, t(9; 22)(q34; q11). Produktem jego niekontrolowanej ekspresji jest kinaza tyrozynowa. Komórki z chromosomem Ph mogą rozwijać się w taki sposób, który umożliwia im uniknięcia inhibicji wywołanej przez leki z grupy TKI. Od czasu wystąpienia pierwszych przypadków oporności na imatynib, identyfikuje się punktowe mutacje w domenie kinazy BCR-ABL (m. in. mutacja V299L), zaburzające lub całkowicie znoszące wiązanie leków z grupy TKI.*

*Częstość występowania nowych przypadków ALL wynosi 2/100 000 osób rocznie, z czego dorośli stanowią 20-25%. Częstość występowania podtypu ALL Ph+ zwiększa się wraz z wiekiem pacjentów. Wariant ten występuje u około 20% dorosłej populacji chorych, a u osób >60 roku życia częstość zwiększa się do 35-54%. U dzieci częstość występowania chromosomu Ph wynosi około 3%.*



Zlecenie dotyczy pacjenta z rozpoznaniem ALL PH+ w 06.2013, u którego zastosowano dotychczas następujące leczenie:

- PALG ALL6 (brak efektu),
- dazatynib (całkowita remisja genetyczna i częściowa molekularna),
- allogeniczny przeszczep szpiku (dawca rodzinny),
- aktualnie wznowa choroby.

Stwierdzono mutację V299L w domenie kinazowej BCR-ABL. Rokowanie w przypadku pacjentów po nawrocie choroby wiąże się z bardzo złymi prognozami (NCCN 2020).

Produkt leczniczy Tassigna aktualnie jest refundowany w programie lekowym B.14. „Leczenie chorych na przewlekłą białaczkę szpikową (ICD-10: C92.1)”. Wnioskowane wskazanie, tj. ostra białaczka limfoblastyczna Ph+ (ICD-10: C91.0) z obecnością mutacji V299L jest wskazaniem off –label.

#### Skuteczność kliniczna i praktyczna

Nie odnaleziono badań dotyczących zastosowania nilotynibu we wnioskowanym wskazaniu. Brak jest również opinii ekspertów, do których się zwrócono na potrzeby niniejszego opracowania.

Amerykańskie wytyczne NCCN 2020 u pacjentów z nawrotową/oporną ALL Ph+ zalecają m. in. stosowanie inhibitorów TKI, a w przypadku obecności mutacji V299L można zastosować nilotynib lub ponatynib. Wytyczne ESMO2016 i PTOK 2013 wskazują na możliwość zastosowania inhibitorów TKI, m.in. nilotynibu, nie odnoszą się jednak do sposobu postępowania w przypadku występowania mutacji V299L.

#### Bezpieczeństwo stosowania

Zdarzeniami niepożądanymi w trakcie stosowania nilotynibu są:

- obserwowane u  $\geq 5\%$  pacjentów: bóle głowy, nudności, ból w nadbrzuszu, wysypka, świąd, łysienie, ból mięśni i zmęczenie,
- obserwowane u  $< 5\%$  pacjentów: hipofosfatemia (w tym zmniejszenie stężenia fosforu we krwi), hiperbilirubinemia (w tym zwiększenie stężenia bilirubiny we krwi), zwiększenie aktywności aminotransferazy alaninowej, zwiększenie aktywności aminotransferazy asparaginianowej, zwiększenie aktywności lipazy, zwiększenie stężenia lipoproteiny cholesterolu (w tym o małej i dużej gęstości), zwiększenie stężenia cholesterolu całkowitego, zwiększenie stężenia trójglicerydów we krwi.

Na stronie internetowej Amerykańskiej Agencji ds. Żywności i Leków (FDA) odnaleziono komunikat i dwa raporty dotyczące działań niepożądanych u pacjentów stosujących nilotynib takich jak: bóle mięśni, ból kości i ból kończyn, zdarzenia okluzyjne w naczyniach krwionośnych i tętnicach, reaktywacja wirusowego zapalenia wątroby typu B oraz mikroangiopatia zakrzepowa.

### Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Dla niniejszego wskazania EMA nie przeprowadziła oceny relacji korzyści do ryzyka. Lek jest rejestrowany w leczeniu przewlekłej białaczki szpikowej z chromosomem Philadelphia, w tym w przypadku oporności lub nietolerancji na uprzednie leczenie, w tym leczenie imatynibem.

### Konkurencyjność cenowa

Według wniosku załączonego do zlecenia MZ koszt 90-dniowej nilotynibem terapii wynosi ██████████ brutto. Alternatywną technologią w stosunku do ocenianej technologii jest stosowanie leku ponatynib. Koszt 90-dniowej terapii tym lekiem wynosi ██████████ brutto.

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

Brak danych o ewentualnej liczbie pacjentów kwalifikujących się do zastosowania wnioskowanego leczenia.

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

Alternatywną technologią kliniczną wskazaną w wytycznych NCCN 2020 jest ponatynib. Lek Iclusig (ponatynib) jest zarejestrowany m. in. we wskazaniu ostra białaczka limfoblastyczna z obecnością chromosomu Philadelphia (Ph+ ALL) z opornością lub nietolerancją leczenia dazatynibem i dla których kolejne leczenie imatynibem nie jest właściwe ze względów klinicznych, lub u pacjentów z mutacją T315I. Bezpieczeństwo stosowania, skuteczność leczenia i jakość życia w trakcie leczenia ponatynibem u pacjentów z CML i Ph+ ALL opornych na lub nietolerujących uprzedniego leczenia inhibitorami kinazy tyrozynowej oceniane są w międzynarodowym wielośrodkowym badaniu prowadzonym metodą otwartą w jednej grupie. Do badania włączono 449 pacjentów, wśród których było 32 pacjentów z Ph+ ALL (kohorta R/I: n=10, kohorta T315I: n=22). Mediana czasu do MaHR (większa odpowiedź hematologiczna) u pacjentów z Ph+ ALL wynosiła 0,7 miesiąca (zakres od 0,4 do 5,5 miesiąca). W momencie składania uaktualnionego raportu, przy minimalnym okresie obserwacji wszystkich pacjentów aktualnie uczestniczących w badaniu wynoszącym 64 miesiące szacowana mediana czasu trwania MaHR u pacjentów Ph+ ALL (mediana okresu leczenia: 2,7 miesiąca), wynosiła 3,2 miesiąca (zakres od 1,8 do 12,8 miesiąca).

### **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 nr: OT.422.47.2020

„Tasigna (nilotynib) we wskazaniu: ostra białaczka limfoblastyczna Ph+ (ICD-10: C91.0) z obecnością mutacji V299LL”, data ukończenia: 27 maja 2020 r.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

*Dane zakreślone kolorem czarnym stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców Novartis Europharm Limited, ARIAD Pharma Ltd.*

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem Novartis Europharm Limited, ARIAD Pharma Ltd. o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

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

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

**Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności:** Novartis Europharm Limited, ARIAD Pharma Ltd..





## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 128/2020 z dnia 1 czerwca 2020 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Ewerolimus Stada (ewerolimus) we wskazaniu: rak neuroendokrynnny jelita cienkiego (ICD-10: C75.9) z przerzutami do wątroby i węzłów chłonnych krezki

*Rada Przejrzystości uważa za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Ewerolimus Stada (ewerolimus) tabletki á 10mg, we wskazaniu: rak neuroendokrynnny jelita cienkiego (ICD-10: C75.9) z przerzutami do wątroby i węzłów chłonnych krezki.*

#### Uzasadnienie

##### Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Nowotwory neuroendokrynnne przewodu pokarmowego wywodzą się z komórek układu neuroendokrynnego przewodu pokarmowego i trzustki. Częstość występowania złośliwych nowotworów neuroendokrynnnych przewodu pokarmowego szacuje się na 0,29 na 100 000 osób rocznie. Nowotwory te stanowią 70% wszystkich guzów neuroendokrynnnych oraz 2% wszystkich nowotworów układu pokarmowego. Występują z równą częstością u obu płci, ze szczytem zachorowań w 6 i 7 dekadzie życia. Aktywne hormonalnie nowotwory często są wielogniskowe a w 15% przypadków są skojarzone z innymi nowotworami, takimi jak gruczolakorak układu pokarmowego czy rak piersi. Wniosek dotyczy osoby z nowotworem neuroendokrynnnym jelita cienkiego, u której dotychczas zastosowano trzykrotne leczenie operacyjne, analogi somatostatyny oraz czterokrotnie Lu177-DOTATATE. Ponadto w scyntygrafii wykonanej 12.2019 stwierdzono liczne przerzuty do wątroby, tkanek miękkich oraz kości aktualnie u pacjenta stwierdza się objawy zespołu rakowiaka.

##### Skuteczność kliniczna i praktyczna

Efektywność i bezpieczeństwo ewerolimusu podawanego z oktreotydem w leczeniu nowotworów neuroendokrynnnych oceniano w badaniu RADIANT 2 u 429 pacjentów z nowotworem w zaawansowanym stadium oraz objawami rakowiaka.



Terapia wiązała się z wydłużeniem mediany przeżycia wolnego od progresji (PFS) w grupie otrzymującej ewerolimus w porównaniu z placebo (16,4 vs 11,3 miesiąca; 95% HR – 0,77; 95%CI 0,59-1,0,  $p=0.026$  – założony poziom istotności statystycznej  $p<0.025$ ). W związku ze stwierdzeniem pewnego nie zrównoważenia między grupami pod względem czynników o dużym znaczeniu rokowniczym na korzyść grupy kontrolnej, wyniki badania przeliczono i przedstawiono podczas sympozjum ASCO w 2012 roku. Powtórna analiza wykazała, że stosowanie ewerolimusu związane jest ze znaczącym wydłużeniem PFS w porównaniu do placebo (HR 0,62, 95%CI 0,51-0,87,  $p=0,003$ ). Nie wykazano istotnej statystycznie różnicy pod względem przeżycia całkowitego pomiędzy grupami ((HR 1,17, 95% CI 0,92-1,49), jednakże należy zauważyć, że pacjenci zrandomizowani do grupy otrzymującej placebo mogli przejść do grupy aktywnie leczonej.

Dodatkowe dane kliniczne pochodzą z badania RADIANT-4, w którym oceniano efektywność i bezpieczeństwo stosowania ewerolimusu u pacjentów z nowotworami neuroendokrynnymi, nieaktywnymi hormonalnie. Wykazano, że terapia ewerolimusem w porównaniu z placebo jest związana z istotną poprawą w zakresie PFS, (11 vs 3.9 miesiąca; HR 0.48, 95% CI 0.35-0.67). U 81% pacjentów otrzymujących ewerolimus osiągnięto stabilizację choroby.

Według wytycznych klinicznych PTOK 2013, NCCN2019 i ESMO 2020 ewerolimus stanowi opcję terapeutyczną u pacjentów z neuroendokrynnymi nowotworami przewodu pokarmowego. Zdaniem eksperta klinicznego zastosowanie ewerolimusu we wnioskowanym wskazaniu jest zasadne.

#### Bezpieczeństwo stosowania

Zdarzenia niepożądane, które wystąpiły w badaniu RADIANT 2, związane z przyjmowanym lekiem i prowadzące do przerwania terapii wystąpiły u 40 pacjentów (19%) w ramieniu otrzymującym ewerolimus i 7 chorych (3%) w grupie otrzymującej placebo. Najczęściej występującym działaniem niepożądanym (3-4 stopnia) w grupie pacjentów otrzymujących ewerolimus było zapalenie jamy ustnej, zmęczenie, infekcje i hiperglikemia, natomiast w grupie pacjentów otrzymujących placebo plus oktreotyd LAR było: zmęczenie, biegunka i nudności.

#### Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Ewerolimus jest wskazany w leczeniu nieoperacyjnych lub z przerzutami wysoko lub średnio zróżnicowanych nowotworów neuroendokrynnych trzustki oraz nieoperacyjnych lub z przerzutami, wysoko zróżnicowanych, hormonalnie nieczynnych nowotworów neuroendokrynnych układu pokarmowego lub płuc. Biorąc pod uwagę fakt aktywności hormonalnej nowotworu u pacjenta, którego dotyczy rozpatrywany wniosek, proponowane wskazanie jest wskazaniem pozarejestacyjnym. Biorąc pod uwagę dostępne dane kliniczne oraz ocenę

eksperta klinicznego można uznać, że korzyści zdrowotne przeważają nad ryzykiem terapii.

#### Konkurencyjność cenowa

Według wniosku załączonego do zlecenia MZ koszt 90-dniowej terapii wynosi

██████████

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

Według oszacowań eksperta klinicznego zastosowanie terapii ewerolimusem we wnioskowanym wskazaniu mogłoby dotyczyć około 2 pacjentów. W związku z tym wydatki związane z leczeniem dwóch osób wyniosłyby około ██████████ rocznie.

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

Za możliwą alternatywną opcję terapeutyczną uznano interferon alfa-2b, która nie jest finansowana w ocenianym wskazaniu. Zgodnie z ChPL IntronA jest wskazany m.in. w leczeniu rakowiaków z przerzutami do węzłów chłonnych lub do wątroby oraz z „zespołem rakowiaka”. Dostępne dane kliniczne wskazują na słabą do umiarkowanej skuteczność IFN $\alpha$  we wnioskowanym wskazaniu. Dostępne są także wstępne dane kliniczne, pochodzące z badań II fazy wskazujące możliwość zastosowania w opisywanym przypadku leków z grupy inhibitorów kinazy tyrozynowej.

#### Podsumowanie

Podsumowując, ograniczone dane kliniczne wskazują na zasadność zastosowania ewerolimusu u pacjenta z zaawansowanym nowotworem neuroendokrynnym.

#### **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 nr: OT.422.49.2020 „Everolimus Stada (ewerolimus) we wskazaniu rak neuroendokrynnny jelita cienkiego (ICD-10 C75.9) z przerzutami do wątroby i węzłów chłonnych krezki”, data ukończenia: 25.05.2020 r.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców STADA Poland sp. z o.o.

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem STADA Poland sp. z o.o. 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:** STADA Poland sp. z o.o.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 129/2020 z dnia 1 czerwca 2020 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Revolade (eltrombopag) we wskazaniu: ostra białaczka szpikowa, stan po allogenicznej transplantacji szpiku kostnego od dawcy rodzinnego, choroba przeszczep przeciw biorcy - late acute GvHD/overlap, zła funkcja przeszczepu (poor graft function) – aplazja / hypoplazja szpiku po allogenicznej transplantacji, brak odpowiedzi na leczenie immunosupresyjne, nietolerancja inhibitorów kalcyneuryny z powodu mikroangiopatii poprzyszczepowej (ICD-10 określono na C92.0.)

*Rada Przejrzystości uważa za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Revolade (eltrombopag) tabletki powlekane, 50 mg, we wskazaniu: ostra białaczka szpikowa, stan po allogenicznej transplantacji szpiku kostnego od dawcy rodzinnego, choroba przeszczep przeciw biorcy - late acute GVHD/overlap, zła funkcja przeszczepu (poor graft function) – aplazja / hypoplazja szpiku po allogenicznej transplantacji, brak odpowiedzi na leczenie immunosupresyjne, nietolerancja inhibitorów kalcyneuryny z powodu mikroangiopatii poprzyszczepowej (ICD-10 określono na C92.0.).*

#### Uzasadnienie

##### Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

*Ekspert kliniczny wskazał, że skutkami następstw ocenianego wskazania są: przedwczesny zgon, niezdolność do samodzielnej egzystencji oraz obniżenie jakości życia. Nieopanowana choroba prowadzi w krótkim czasie do śmierci.*

##### Skuteczność kliniczna i praktyczna

*Nieliczne dowody stosunkowo wysokiej (69%) skuteczności eltrombopagu w leczeniu ostrej białaczki szpikowej (ICD-10:C92.0) z rozwinięciem choroby GVHD, pochodzą z 1 publikacji (Marotta 2019) opisującej 12 pacjentów po transplantacji komórek krwiotwórczych, z trwałą cytopenią z powodu złej funkcji przeszczepu. W celu poszerzenia dowodów dotyczących skuteczności*



*i bezpieczeństwa eltrombopagu w analizowanej populacji, jak również odniesienia się do porównawczej oceny eltrombopagu i technologii alternatywnej – romiplostymu, przedstawiono wyniki jednoramiennego badania obserwacyjnego Rudakova 2019, w którym oceniano stosowanie ww. agonistów receptora trombopoetyny (TPO-RA) w populacji chorych ze złą funkcją przeszczepu. Roczne prawdopodobieństwo przeżycia chorych od rozpoczęcia terapii TPO-RA wyniosło 60%.*

#### *Bezpieczeństwo stosowania*

*U żadnego pacjenta w badaniu Marotta nie przerwano leczenia eltrombopagiem z powodu zdarzeń niepożądanych. Nie odnotowano również klinicznie istotnych nieprawidłowych wyników testów czynnościowych wątroby.*

*W badaniu Rudakova TPO-RA były dobrze tolerowane i nie stwierdzono toksyczności 3-4 stopnia. W przypadku eltrombopagu odnotowano jeden przypadek hepatotoksyczności 2 stopnia, który nie wymagał jednak przerwania terapii.*

#### *Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania*

*Wskazanie, którego dotyczy wniosek nie zawiera się we wskazaniu rejestracyjnym produktu leczniczego Revolade.*

*Niemniej, z uwagi na fakt podobieństwa mechanizmu złej funkcji przeszczepu do anemii aplastycznej można uznać, że pozytywna ocena przeprowadzona przez EMA dotycząca relacji korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania eltrombopagu w leczeniu dorosłych pacjentów z nabytą ciężką postacią niedokrwistości aplastycznej, u których wystąpiła oporność na wcześniejsze leczenie immunosupresyjne lub którzy przebyli wcześniejsze intensywne leczenie i nie są odpowiednimi kandydatami do transplantacji krwiotwórczych komórek macierzystych, odnosi się również do obecnie wnioskowanego wskazania.*

#### *Konkurencyjność cenowa*

*Zgodnie ze zleceniem MZ, oceniana terapia (okres 3 mies.) obejmuje 6 opakowań leku Revolade po 28 tabletek po 50 mg, a jej koszt to [REDACTED] brutto (168 tabletek) dla jednego pacjenta. Koszt 3 miesięcznej terapii lekiem Nplate (romiplostym) przy założeniu średniej dawki 5 µg/kg/tydzień (na podstawie badania Rudakova 2019), średniej masy ciała pacjenta równej 70 kg (na podstawie publikacji Flynn 2017) wyniesie 48 912,50 PLN brutto.*

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

*Ekspert kliniczny, wskazał, że liczba pacjentów, u których można zastosować wnioskowaną technologię lekową w ramach RDTL wyniesie około 20 pacjentów rocznie. Uwzględniając informacje dotyczące kosztu leku Revolade 50 mg ze zlecenia MZ, koszt 3 miesięcznej terapii wyniosłby ok [REDACTED]*

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

*W obliczu zgodnych opinii ekspertów klinicznych co do możliwości zastosowania leku Nplate (romiplostym) w ocenianym wskazaniu, mimo braku odpowiednich wytycznych za technologię alternatywną dla eltrombopagu w populacji chorych ze złą funkcją przeszczepu po allo-HSCT z powodu AML i rozwinięciem choroby GHVD należy uznać romiplostym.*

**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 nr: OT.422.48.2020 „Revolade (eltrombopag) we wskazaniu ostra białaczka szpikowa (ICD10: C92.0) z rozwinięciem choroby GVHD” z dnia 27.05.2020 r.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

*Dane zakreślone kolorem czarnym stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców Novartis Europharm Limited.*

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem Novartis Europharm 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:** Novartis Europharm Limited.





## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 130/2020 z dnia 1 czerwca 2020 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Imfinzi (durwalumab) we wskazaniu: niedrobnokomórkowy rak płuca (ICD-10: C34)

*Rada Przejrzystości uważa za niezasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Imfinzi (durwalumab) 50 mg/ml koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, fiolka á 10 m, we wskazaniu: niedrobnokomórkowy rak płuca (ICD-10: C34) PD-L1 ujemny.*

#### Uzasadnienie

##### Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

*Rak płuca jest najczęstszym nowotworem złośliwym na świecie. W 2017 r. w Polsce odnotowano 21 545 zachorowań z rozpoznaniem ICD-10: C34. Niedrobnokomórkowy rak płuca (NDRP) to najczęściej występujący podtyp, diagnozowany u 80-85% chorych. Z kolei najczęściej występującym typem histologicznym jest rak gruczołowy, rozpoznawany u 45% chorych. Wśród chorych z nieoperacyjnym, miejscowo zaawansowanym NDRP (stopień III) mediana przeżycia całkowitego wynosi pomiędzy 17 a 28,7 miesiąca, zaś jedynie 15-20% chorych przeżywa 5 lat.*

*Zgodnie ze zleceniem durwalumab ma stanowić terapię konsolidującą po zastosowaniu radiochemioterapii, przy czym wniosek dotyczy pacjenta z rakiem gruczołowym płuca z przerzutami do węzłów chłonnych śródpiersia i wnęki prawej, EGFR (-), ALK (-), PD-L1 (-), brak rearanzacji genu ROS1.*

*Szlak cząsteczki programowanej śmierci-1 (PD-1) i ligandu dla niej, czyli PD-L1, to hamujący szlak sygnałowy, zapobiegający aktywacji cytotoksycznych limfocytów efektorowych, powodujący ich supresję oraz brak aktywności. Jest to adaptacyjna odpowiedź immunologiczna, która pomaga nowotworowi uniknąć wykrycia i eliminacji przez układ immunologiczny. Ligandy cząsteczki PD-1 (PD-L1, PD-L2) ulegają nadekspresji między innymi na komórkach guza złośliwego, także w raku płuca. PD-L1<1% oznacza ekspresję na mniej niż 1% komórek guza.*



### Skuteczność kliniczna i praktyczna

Durwalumab jest całkowicie ludzkim przeciwciałem monoklonalnym z klasy immunoglobulin G1 kappa, które selektywnie blokuje interakcję PD-L1 z PD-1 i CD80, co wzmacnia odpowiedzi przeciwnowotworowe układu immunologicznego i zwiększa aktywację limfocytów T.

Lek Imfinzi został zarejestrowany w Europie w 2018 r. w leczeniu miejscowo zaawansowanego, nieoperacyjnego NDRP u pacjentów dorosłych, u których stwierdza się ekspresję PD-L1 na  $\geq 1\%$  komórek guza oraz u których nie nastąpiła progresja choroby po chemioradioterapii z zastosowaniem pochodnych platyny. Zgodnie z ChPL pacjenci powinni być kwalifikowani do leczenia na podstawie ekspresji PD-L1 na komórkach nowotworowych potwierdzonej walidowanym testem. Z kolei w Stanach Zjednoczonych wskazanie rejestracyjne nie przewiduje żadnych wymogów związanych z PD-L1.

Do analizy zostało włączone badanie rejestracyjne PACIFIC. Pacjenci byli do niego włączani niezależnie od poziomu ekspresji PD-L1. O ile były dostępne, pobrane przed zastosowaniem chemioradioterapii archiwalne próbki tkanki guza zostały jednak retrospektywnie poddane badaniu pod kątem ekspresji PD-L1. Z grupy 713 pacjentów określenie ekspresji PD-L1 udało się uzyskać od 63% pacjentów, a u 37% z nich ekspresja była nieznana.

Wyniki z najdłuższego okresu obserwacji z tego badania, w tym dla podgrupy pacjentów z nowotworem PD-L1 ujemnym, przedstawiono w publikacji Paz-Ares 2020. Wskazują one na brak statystycznie istotnej różnicy między ramieniem durwalumabu a ramieniem placebo pod względem wpływu na wydłużenie przeżycia pacjentów z ekspresją PD-L1  $<1\%$ . W ramieniu durwalumabu współczynnik 24-miesięcznego przeżycia całkowitego wyniósł 56,1% (95% CI: 45,0; 65,8), a w ramieniu placebo 66,4% (95% CI: 52,4; 77,1). Współczynnik 36 miesięcznego przeżycia wyniósł w ramieniu durwalumabu 47,4% (95% CI: 36,4; 57,6), a w ramieniu placebo 54,9% (95% CI: 40,9; 66,9). W odniesieniu natomiast do przeżycia bez progresji choroby mediana PFS w ramieniu durwalumabu wyniosła 10,7 mies. (95% CI: 7,3; NR), a w ramieniu placebo 5,6 mies. (95% CI: 3,7; 10,6).

Wszystkie odnalezione wytyczne kliniczne zalecają stosowanie uzupełniającej immunoterapii durwalumabem po równoczesnej chemioradioterapii opartej na związkach platyny u pacjentów z miejscowo zaawansowanym NDRP, przy czym wytyczne PTOK 2019, NICE 2019 i ESMO 2020 precyzują, że zastosowanie durwalumabu powinno ograniczać się do pacjentów wykazujących ekspresję PD-L1 na  $\geq 1\%$  komórek guza. Wytyczne NCCN 2020 zalecają z kolei podanie durwalumabu niezależnie od poziomu ekspresji PD L1 (zgodnie z rejestracją przez FDA).

### Bezpieczeństwo stosowania

W ChPL Imfinzi podano, że w badaniu PACIFIC najczęściej występującymi działaniami niepożądanymi durwalumabu był kaszel, infekcje górnych dróg oddechowych oraz wysypka. Z kolei najczęściej występującym działaniem niepożądanym o nasileniu stopnia 3-4 było zapalenie płuc (6,5% vs. 5,6% w grupie placebo). W publikacji Paz-Ares 2020 podano, że profil bezpieczeństwa durwalumabu w poszczególnych podgrupach wyszczególnionych ze względu na poziom ekspresji PD-L1 na komórkach nowotworowych był zbliżony z tym obserwowanym w całej grupie.

### Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

W raporcie z oceny EMA wskazano, że korzyść z zastosowania durwalumabu pod względem PFS i OS uznaje się za klinicznie istotną, a lek stanowi wartościową opcję dla pacjentów z miejscowo zaawansowanym NDRP. Jednakże z uwagi na niepewności zidentyfikowane u pacjentów z ekspresją PD L1 <1% nie było możliwe ustalenie stosunku korzyści do ryzyka w tej populacji pacjentów, co skutkowało jej wykluczeniem z zarejestrowanego wskazania. Takie ograniczenie jest w ocenie EMA podyktowane również mechanizmem działania leku Imfinzi. Wyniki analizy EMA wskazują, iż durwalumab jest skuteczny w zakresie wydłużenia PFS niezależnie od ekspresji PD-L1, jednakże wielkość uzyskanego efektu była niższa u pacjentów z ekspresją PD-L1 poniżej 1%. Analiza wpływu durwalumabu na OS wskazuje zaś na brak korzyści u pacjentów z ekspresją PD-L1 <1%. Wyniki badania PACIFIC zostały podsumowane przez EMA stwierdzeniem, że nie da się jednoznacznie określić skuteczności durwalumabu u pacjentów z ekspresją PD-L1 poniżej 1%.

### Konkurencyjność cenowa

Zgodnie ze zleceniem Ministerstwa Zdrowia koszt netto (z uwzględnieniem marży hurtowej) 3-miesięcznej terapii lekiem Imfinzi wyniesie [REDACTED]

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

Jeden z ankietowanych przez Agencję ekspertów oszacował populację chorych z NDRP ze wskazaniami do zastosowania durwalumabu na około 1000 osób rocznie. Kolejny ekspert wskazał zaś, że liczba pacjentów z rakiem gruczołowym, którzy mogliby stosować durwalumab, wynosi około 150 (w obu przypadkach bez doprecyzowania czy wskazane liczby dotyczą wyłącznie pacjentów z nowotworem PD-L1 ujemnym). Przy uwzględnieniu danych ze zlecenia MZ dotyczących dawkowania leku i jego ceny, koszt finansowania ze środków publicznych ocenianej technologii lekowej w ramach RDTL przez 3 miesiące dla 150 osób wyniesie [REDACTED] zł, a dla 1000 osób – [REDACTED]

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

Obecnie w Polsce chorzy na NDRP w stadium zaawansowania miejscowego jednoczasowej chemioradioterapii lub po sekwencyjnym stosowaniu chemioterapii i radioterapii poddawani są jedynie obserwacji. W wytycznych PTOK 2019 i ESMO 2020 wskazano, że nie ma dowodów na stosowanie konsolidującej chemioterapii po zakończeniu radiochemioterapii. Alternatywną technologią medyczną jest zatem obserwacja (placebo).

W ocenie Rady Przejrzystości argumenty wskazujące na zasadność finansowania durwalumabu ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, u pacjentów z brakiem ekspresji PD-L1, a więc jako wskazanie off-label, nie są wystarczająco przekonujące.

Uwaga Rady

Rada zajmowała poprzednio stanowisko pozytywne. Dotyczyło ono sytuacji, w której PD-L 1 wynosił ponad 1%. W tym przypadku mamy do czynienia z PD-L 1 ujemnym.

**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 nr: OT.422.46.2020 „Imfinzi (durwalumab) we wskazaniu: niedrobnokomórkowy rak płuca (ICD-10: C34)”, data ukończenia: 26 maja 2020 r.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

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

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem AstraZeneca AB 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:** AstraZeneca AB.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 131/2020 z dnia 1 czerwca 2020 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych,  
w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku  
Kanjinti (trastuzumabum) we wskazaniu: rozsiały rak piersi  
(ICD 10: C50.9) – VII linia leczenia

*Rada Przejrzystości uważa za niezasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Kanjinti (trastuzumabum) proszek do sporządzania koncentratu do przygotowania roztworu do infuzji, 420 mg, we wskazaniu: rozsiały rak piersi (ICD-10: C50.9) – VII linia leczenia.*

#### Uzasadnienie

##### Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

*Wniosek dotyczy pacjentki z rakiem piersi, u której występuje uogólnioną postacią raka piersi z obecnością nadekspresji antygenu HER2 oraz z ekspresją receptorów PR i ER. Podano, że dotychczasowe leczenie obejmowało: 4x AC, trastuzumab, tamoksifen, lapatynib + kapecytabina, fulwestrant (Faslodex), paklitaksel, trastuzumab emtanzyny. Aktualnie pacjentka leczona jest schematem: docetaksel + trastuzumab + pertuzumab (finansowane przez fundację) z częściową regresją zmian w obrębie OUN.*

*Zgodnie z informacją z MZ, z dnia 19.05.2020 zlecenie dotyczy leku Kanjinti, w zakresie oceny zastosowania leku w schemacie docetaksel + trastuzumab + pertuzumab. W 2020 r. w Agencji oceniano takie samo wskazanie, tj. „rozsiały rak piersi (ICD-10: C50.9) – VII linia leczenia”) w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych (RDTL), ale wniosek dotyczył produktu leczniczego Perjeta (pertuzumab). Zarówno Prezes Agencji, jak i Rada Przejrzystości uznali finansowanie ww. technologii lekowej za niezasadne.*

*Należy zaznaczyć, iż trastuzumab w skojarzeniu z pertuzumabem i docetakselem jest refundowany w I linii leczenia u pacjentów, którzy w przeszłości z powodu uogólnionego raka piersi nie byli leczeni chemioterapią lub terapią przeciw HER2 w ramach programu lekowego (PL). Ponadto PL wyklucza możliwość leczenia trastuzumabem w skojarzeniu z pertuzumabem i docetakselem pacjentów, u których stwierdzono obecność przerzutów w ośrodkowym układzie nerwowym*



potwierdzonych wynikami badania obrazowego wykonanego w sytuacji wystąpienia klinicznych wskazań.

#### Skuteczność kliniczna i praktyczna

Efektywność kliniczna i praktyczna schematu w kolejnych schematach leczenia zaawansowanego raka piersi, nie jest udowodniona naukowo. Opisana w analizie publikacja Ricciardi 2017, wieloośrodkowego, retrospektywnego badania przeprowadzonego w 6 włoskich ośrodkach onkologicznych (abstrakt konferencyjny), opisuje zastosowanie ww. schematu u 35 pacjentek z HER2-dodatnim przerzutowym rakiem piersi. Okres obserwacji (follow-up) wynosił 55,6 miesięcy (zakres: 6-170). Pacjenci otrzymali 6 cykli leczenia (zakres: 2-10). Mediana PFS wynosiła 12 mies. (95% CI: 2-38). Mediana OS wynosiła 15,2 miesięcy (95% CI: 2-36). 14,3% pacjentów miało odpowiedź całkowitą (CR), 60% odpowiedź częściową (PR), a 25,7% chorobę stabilną. Według zaleceń klinicznych PTOK 2019, ESMO 2018, u chorych na HER2+ raka piersi z przerzutami do mózgu, u których nie doszło do progresji w ogniskach pozaczaszkowych, po leczeniu miejscowym należy rozważyć kontynuację leczenia anty-HER2 (słaba jakość dowodów - III, C) a jeśli przerzutom do mózgu towarzyszy równoczesna progresja pozaczaszkowa, po zastosowaniu leczenia miejscowego należy rozważyć kolejną linię systemowego leczenia (słaba jakość dowodów - III, C).

Zdaniem Konsultanta Krajowego w dziedzinie onkologii klinicznej, brak jest danych klinicznych uzasadniających stosowanie wnioskowanego schematu leczenia u pacjentów w odległych liniach leczenia.

#### Bezpieczeństwo stosowania

Według Charakterystyki Produktu Leczniczego leku Kanjinti, wśród najcięższych i najczęstszych działań niepożądanych wymieniane są zaburzenia czynności serca, reakcje związane z wlewem, toksyczność hematologiczną (zwłaszcza neutropenię), zakażenia i reakcje związane z układem oddechowym.

#### Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

W raporcie CHMP EMA wskazano, że korzyści z zastosowania trastuzumabu (produkt Herceptin) przewyższają ryzyko stosowania, dopuszczając tym samym produkt do obrotu.

#### Konkurencyjność cenowa

Według wniosku załączonego do zlecenia MZ koszt 3-miesięcznej terapii trastuzumabem wynosi: [REDAKTOWANE] (brutto). Koszt ten jest [REDAKTOWANE] [REDAKTOWANE] na podstawie Obwieszczenia MZ.

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

*Z uwagi na bardzo niewielką liczbą pacjentów będących w sytuacji klinicznej opisanej we wniosku oraz stosunkowo niską obecnie cenę trastuzumabu, wpływ na wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania tego świadczenia jest akceptowalny.*

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

*Wszystkie wymienione w wytycznych interwencje (trastuzumab w skojarzeniu z pertuzumabem i docetakselem, trastuzumab emtanzyna, trastuzumab albo lapatynib w skojarzeniu z kapecytabiną) są aktualnie refundowane w Polsce. Pacjentka, której dotyczy zlecenie, otrzymała wszystkie możliwe do zastosowania w ramach programu lekowego, a także wymienione w wytycznych (nie licząc pertuzumabu, który jest częścią skojarzenia, którego dotyczy oceniany wniosek) terapie dla zaawansowanego raka piersi u pacjentów uprzednio leczonych, w związku z czym nie ma aktywnego komparatora w ocenianym wskazaniu. Tym samym po wykorzystaniu aktualnie refundowanych technologii lekowych alternatywą dla ocenianej technologii lekowej będzie najprawdopodobniej najlepsze leczenie wspomagające (BSC), które z zasady jest technologią refundowaną w Polsce.*

**Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt 4 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 1373 z późn. zm.), opracowania nr: OT.422.50.2020 „Kanjinti (trastuzumab) we wskazaniu: Rozsiany rak piersi (ICD-10: C50.9) –VII linia leczenia”, data ukończenia: 27.05.2020 r.



## KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców Amgen Europe B.V.

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem Amgen Europe B.V. 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:** Amgen Europe B.V.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 132/2020 z dnia 1 czerwca 2020 roku

o projekcie programu „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania cukrzycy typu II na lata 2020-2025” (gm. Świerczów).

*Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej Program profilaktyki i wczesnego wykrywania cukrzycy typu II na lata 2020-2025” (gm. Świerczów), pod warunkiem określenia czynników ryzyka cukrzycy typu II i prowadzenia badań przesiewowych w grupie osób z tymi czynnikami ryzyka.*

#### Uzasadnienie

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

*Nie powoływano się.*

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

*Rekomendacja USPSTF 2015 dopuszcza możliwość stosowania badania HbA1c w ramach badania przesiewowego. Ze względu na brak konieczności wykonywania testu na czczo, ww. badanie może być wygodniejsze dla pacjenta niż badanie FGP czy OGTT. Jednocześnie podkreśla się, że diagnoza nieprawidłowej glikemii na czczo, nieprawidłowej tolerancji glukozy lub cukrzycy 2 typu, powinna być potwierdzona powtórным badaniem (ten sam test wykonany innego dnia).*

Zasadnicze zastrzeżenia wynikające z badań naukowych

*Prowadzenie badań przesiewowych nie ma uzasadnienia w grupie osób nie mających objawów ani czynników ryzyka cukrzycy. W większości badań przesiew obejmował większą liczbę badań niż tylko HBA1c. Pobierając krew do badania laboratoryjnego poszukiwano też innych czynników ryzyka zmian naczyniowych takich jak np. hipercholesterolemia. Brak w badaniach natomiast dowodów na zasadność badań przesiewowych morfologii krwi.*



Zgodność organizacji proponowanego programu z organizacją programów uznawanych za skuteczne

*Nie określono jakie czynniki ryzyka będą kwalifikowały do badania hemoglobiny glikowanej.*

Poziom równości dostępu osób spełniających kryteria włączenia do programu

*Proponowany program nie zawiera ograniczeń co do udziału w nim mieszkańców gminy.*

**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.441.37.2020 „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania cukrzycy typu II na lata 2020-2025”, data ukończenia: maj 2020 oraz Aneksu do raportów szczegółowych „Programy z zakresu profilaktyki i wczesnego wykrywania cukrzycy – wspólne podstawy oceny” z kwietnia 2016 r.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 133/2020 z dnia 1 czerwca 2020 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną budesonidum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego

*Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną budesonidum we wskazaniach pozarejestacyjnych: indukcja remisji u pacjentów pediatrycznych z łagodną do umiarkowanej, aktywną postacią wrzodziejącego zapalenia jelita grubego, gdzie leczenie preparatami 5-ASA jest niewystarczające; indukcja remisji u pacjentów z łagodną do umiarkowanej, aktywną postacią choroby Leśniowskiego - Crohna z zajęciem jelita grubego, gdzie leczenie preparatami 5-ASA jest niewystarczające.*

#### Uzasadnienie

*Aktualizacja przeglądu systematycznego przeprowadzonego w 2017 roku mająca na celu odnalezienie dowodów naukowych dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa stosowania produktów leczniczych zawierających budesonid o przedłużonym uwalnianiu w indukcji remisji u dzieci z łagodną do umiarkowanej, aktywną postacią wrzodziejącego zapalenia jelita grubego lub u pacjentów z łagodną do umiarkowanej, aktywną postacią choroby Leśniowskiego-Crohna, wykazała brak nowych doniesień naukowych.*

*Odnaleziono natomiast 3 rekomendacje kliniczne, które względem poprzedniego raportu uległy zmianie w zakresie wytycznych postępowania klinicznego. W większym stopniu niż poprzednio zalecają one stosowanie budesonidu we wnioskowanym wskazaniu (polskie PTG z 2017, europejskie ECCO z 2019 roku, ECCO/ESPGHAN z 2018 roku; tylko te ostatnie odnoszą się bezpośrednio do populacji pediatrycznej).*

*W poprzednich wytycznych ECCO/ESPGHAN z 2012 roku postaci doustne budesonidu nie były polecane w leczeniu wrzodziejącego zapalenia jelita grubego, natomiast wytyczne z roku 2018 we wrzodziejącym zapaleniu jelita grubego w populacji pediatrycznej zalecają zastosowanie steroidów w drugiej linii leczenia w łagodnej do umiarkowanej postaci po niepowodzeniu leczenia*



preparatami 5-ASA. Zalecenia wskazują na możliwość zastosowania doustnych steroidów 2. generacji z mniejszym wpływem ogólnoustrojowym, tj. dipropionianu beklametazonu i budezonidu MMX.

W chorobie Leśniowskiego-Crohna w populacji dorosłych jako podstawę leczenia wskazuje się budezonid w przypadku lokalizacji krętniczo-kątniczej choroby (w innych lokalizacjach prednizon/prednizolon). W wytycznych PTG 2017 i ECCO 2019 zaleca się stosowanie budezonidu w celu indukcji remisji klinicznej u pacjentów z łagodną do umiarkowanej postaci choroby Leśniowskiego-Crohna ograniczonej do jelita krętego i/lub okrężnicy wstępującej (silna rekomendacja, umiarkowana jakość dowodów). W wytycznych nie odniesiono się do populacji pediatrycznej i do budezonidu MMX. Należy jednak zakładać, że korzyści ze stosowania budezonidu u dzieci z chorobą Leśniowskiego-Crohna w postaci łagodna do umiarkowanej będą przeważać nad działaniami niepożądanymi.

#### **Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 784 z późn. zm.), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 1373 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania nr: OT.4321.68.2019 „Budezonid we wskazaniach: indukcja remisji u pacjentów pediatrycznych z łagodną do umiarkowanej, aktywną postacią WZJG, gdzie leczenie preparatami 5 - ASA jest niewystarczające, indukcja remisji u pacjentów z łagodną do umiarkowanej, aktywną postacią choroby Leśniowskiego - Crohna, gdzie leczenie preparatami 5-ASA jest niewystarczające”, data ukończenia: 27.05.2020 r.



Rada **Przejrzystości**

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

**Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 32/2020 z dnia 1 czerwca 2020 roku  
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka  
spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego RenaStart  
we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek u dzieci w wieku  
od pierwszego do czwartego roku życia**

*Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne wydawanie zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego RenaStart proszek, puszka á 400 g, we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek u dzieci w wieku od pierwszego do czwartego roku życia.*

*Jednocześnie, Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Renastart, proszek, puszka á 400 g, we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek stadium 4/5 u dzieci w wieku od 1. do 2. roku życia.*

**Uzasadnienie**

Problem decyzyjny

*Renastart jest to wysokoenergetyczny produkt z niską zawartością białek, wapnia, chlorku, potasu, fosforu i witaminy A. Zawiera białko serwatkowe, aminokwasy, węglowodany, tłuszcze, witaminy, składniki mineralne, pierwiastki śladowe i długołańcuchowe wielonienasycone kwasy tłuszczowe (LCP): kwas arachidonowy (AA) i dokozaheksaenowy (DHA).*

*W 2018 r Rada Przejrzystości uznała za niezasadne wydawanie zgód na import docelowy leku w szerszej populacji (przewlekła niewydolność nerek (PNN) u noworodków i dzieci do 10 r życia). W 2019 r Rada uznała za niezasadne wydawanie zgód na import docelowy podobnego preparatu (Kinderegen) w tej populacji. Również negatywne były rekomendacje Prezesa AOTMiT. W 2020 r, po pozytywnej opinii Rady Przejrzystości, Prezes AOTMiT rekomendował wydawanie zgód na import z zagranicy Renastartu dla dzieci do 1 roku życia.*

Dowody naukowe

*Brak jest przekonujących dowodów skuteczności i bezpieczeństwa ŚSSPŻ Renastart u małych dzieci, ale opublikowany opis przypadku (Keung 2017) oraz 3 abstrakty konferencyjne, w tym 2 Armbrorst 2019 i 2020, wskazywały na skuteczność preparatu w zapewnianiu odpowiedniego wzrostu masy ciała*



*i stężenia albuminy we krwi oraz zapobieganiu hiperkaliemii i hiperfosfatemii u małych dzieci z PNN. Dotychczas nie opublikowano wyników badania obserwacyjnego w 3 niemieckich ośrodkach, pomimo że datę zakończenia badania przewidziano na maj 2019 r.*

*Odnaleziono wytyczne 9 instytucji, zalecające utrzymanie odpowiedniego poziomu wapnia i fosforanów u dzieci i niemowląt z przewlekłą chorobą nerek. W wytycznych 3 towarzystw brytyjskich wskazano preparaty Renastart i Kindergen do stosowania u niemowląt z chorobami nerek w wieku 0-6 miesięcy, bez preferowania któregośkolwiek z nich (FSNT 2018, NUH-CRU 2018, CPD-BDA 2015). W wytycznych walijskich z 2014 r. (WN 2014) wymieniono preparat Renastart jako specjalistyczną mieszankę dla wcześniaków z niewydolnością nerek. W rekomendacjach europejskich (EPDWG 2012) i międzynarodowych (KDIGO 2017) nie odniesiono się do kwestii stosowania śsspż w PChN. W 2013 r. PBAC zarekomendował finansowanie Renastart, z maksymalną ilością 4- 5 powtórzeń.*

*Dwoje ekspertów klinicznych powołanych przez AOTMiT opowiedziało się za refundacją Renastartu u dzieci z PNN, gdyż stosowanie go umożliwi osiągnięcie warunków fizycznego rozwoju, pozwalającego na transplantację nerki. Jeden z nich wskazał, że populacją docelową powinna być przewlekła choroba nerek w stopniu G 4-5.*

#### Problem ekonomiczny

*Zgodnie z danymi otrzymanymi od Ministerstwa Zdrowia, w latach 2017-2020 zgody na refundację ŚSSPŻ Renastart otrzymało od 3 do 12 pacjentów z ocenianym wskazaniem (PNN) u dzieci w wieku od 1. do 4. roku życia).*

*Zgodnie z danymi przekazanymi przez MZ średnia cena 1 opakowania preparatu Renastart, wynosiła 222,20 PLN. Maksymalną, oszacowaną populację docelową prof. Tkaczyk ocenił na –ok. 90 pacjentów. W latach 2017- 2020 średni roczny koszt leczenia jednego pacjenta preparatem Renastart wynosi 17461,22PLN, natomiast podobnym preparatem Kindergen –26266,24 PLN. W populacji liczącej około 90 pacjentów, import Renastartu może wiązać się z wydatkami płatnika publicznego na poziomie ok. 1,6 mln PLN rocznie, natomiast finansowanie preparatu Kindergen na poziomie 2,4 mln PLN rocznie.*

#### Główne argumenty decyzji

*Wprawdzie brak jest przekonujących dowodów na działanie Renastartu, ale według nielicznych doniesień i opinii powołanych przez AOTMiT ekspertów, preparat powinien być refundowany u dzieci z PNN, w celu normalizacji kaliemii i fosfatemii oraz poprawienia bilansu energetyczno-białkowego, umożliwiającego przygotowania dziecka do transplantacji nerki.*

*Ponieważ do transplantacji nerki dziecko musi mieć co najmniej 8 kg, poszerzenie populacji do 2 roku życia jest zasadne i nie będzie zbyt dużym obciążeniem*

*dla budżetu. Wydłużenie wieku do 4 lat, przy braku przekonujących dowodów naukowych, Rada uznała za bezzasadne, gdyż w Polsce są dostępne leki obniżające stężenie potasu i fosforu we krwi. Jeden z ekspertów wskazał, że populację docelową powinny stanowić dzieci ze stadium 4/5 przewlekłej choroby nerek.*

**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 2020 r., poz. 357) 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 nr: OT.4311.7.2020 „Renastart we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek u dzieci w wieku od 1. do 4. roku życia „, data ukończenia: 27 maja 2020 r.





## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

### Opinia Rady Przejrzystości nr 134/2020 z dnia 1 czerwca 2020 roku w sprawie zalecanych technologii medycznych, działań przeprowadzanych w ramach programów polityki zdrowotnej oraz warunków realizacji tych programów, dotyczących profilaktyki chorób odkleszczowych (boreliozy)

*Rada Przejrzystości uważa za zasadne finansowanie w ramach programów polityki zdrowotnej wszystkich interwencji objętych wnioskowanym modelowym programem, pod warunkiem przededagowania programu zgodnie z uwagami Rady.*

*Jednocześnie Rada wyraża warunkowo pozytywną opinię o modelowym rozwiązaniu pn. profilaktyki chorób odkleszczowych (w tym boreliozy) wraz z odniesieniem do modelowego rozwiązania pn. „Profilaktyka chorób odkleszczowych (borelioza)”. Rada stoi na stanowisku, iż program powinien dotyczyć chorób odkleszczowych, co oznacza objęcie również chorób innych niż borelioza.*

#### **Uzasadnienie**

##### Problem zdrowotny

*Borelioza z Lyme (ICD-10: A69.2 choroba z Lyme) jest jedną z najczęstszych chorób odkleszczowych w Polsce. Lokuje się ona także na pierwszym miejscu wśród chorób zawodowych, przenoszonych przez wektory, ponieważ ponad 90% jej przypadków odnotowano u pracowników leśnictwa, łowiectwa oraz rolnictwa. W 2018 r. w Polsce odnotowano 20 150 przypadków boreliozy z Lyme, zapadalność wyniosła 52,5/100 tys. mieszkańców, a 10,5% osób zdiagnozowanych zostało poddanych leczeniu w warunkach szpitalnych.*

##### Rekomendowane i nierekomendowane technologie medyczne, działania, warunki realizacji

*Program polityki zdrowotnej może być zorientowany jedynie na edukację, profilaktykę i wykrywanie zakażonych już osób.*

*Opiniowany model obejmuje:*

- *działania informacyjno - edukacyjne (rekomendowane przez FSS 2019, PEI 2019, NICE 2018, GDS 2017, AGDoH 2015, CPS 2014, AAFP 2012, AAD 2011),*



w tym kryteria włączenia obejmujące wszystkie osoby należące do populacji docelowej,

- szkolenia dla personelu medycznego (rekomendowane przez PEI 2019, NICE 2018), w tym kryteria włączenia obejmujące personel medyczny zaangażowany w realizację programu, np.: lekarze POZ, lekarze specjaliści, pielęgniarki, koordynatorzy opieki medycznej,
- lekarską wizytę diagnostyczno-terapeutyczną (rekomendowane przez FSS 2019, IDEG 2019, PEI 2019, PTEiLChZ 2018, CDC 2018, NICE 2018, ESCMID 2018, GDS 2017, OHA 2016, KIDL 2014, AAFP 2012, AAD 2011, DBG 2010).

#### Dowody naukowe

Program w zaproponowanej formie nie był jeszcze przedmiotem badania naukowego. Dotychczasowe badania pozwoliły na sformułowanie szeregu zaleceń( m.in. WHO), na których program ten się opiera.

#### Opcjonalne technologie medyczne

Nie istnieją, wszystkie możliwe zostały już objęte programem.

#### Wskaźniki monitorowania i ewaluacji

Liczba osób uczestniczących w szkoleniach dla personelu medycznego, u których doszło do wzrostu poziomu wiedzy (przeprowadzenie pre-testu i post-testu) na temat boreliozy z Lyme:

- odsetek osób, u których doszło do zdiagnozowania boreliozy podczas wizyty diagnostyczno-terapeutycznej,
- odsetek osób z pozytywnym wynikiem badania serologicznego w kierunku boreliozy z Lyme,
- odsetek osób, które otrzymały leczenie w związku ze stwierdzoną boreliozą z Lyme,
- odsetek osób, u których doszło do polepszenia stanu zdrowia w wyniku otrzymywanego leczenia.

#### Uwaga Rady

Po przeredagowaniu tekstu programu, zgodnie z uwagami Rady, sugeruje zapoznanie Rady z nowym, zmienionym programem.

#### **Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 48aa ust. 1, w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 3a 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 w sprawie zalecanych technologii medycznych, działań przeprowadzanych w ramach programów polityki zdrowotnej oraz warunków realizacji tych programów nr: OT.423.7.2019 „Profilaktyka chorób odkleszczowych (borelioza)”, data ukończenia: maj 2020.