



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

BP.401.29.2020.MKZ

Protokół nr 27/2020
z posiedzenia Rady Przejrzystości
w dniu 6 lipca 2020 roku
w formie wideokonferencji

Michał Myśliwiec otworzył posiedzenie o godzinie 10:00

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

1. Anna Gręziak
2. Dariusz Jarnutowski
3. Barbara Jaworska-Łuczak
4. Adam Maciejczyk
5. Michał Myśliwiec – prowadził posiedzenie
6. Rafał Niżankowski
7. Piotr Szymański
8. Janusz Szyndler

Członkowie Rady nieobecni na posiedzeniu

1. Tomasz Romańczyk

Proponowany porządek obrad:

1. Ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Vyxeos liposomowy (daunorubicyna/cytarabina) we wskazaniu: u dorosłych w leczeniu nowo rozpoznanej ostrej białaczki szpikowej zależnej od terapii (ang. therapy-related acute myeloid leukaemia, t-AML) lub ostrej białaczki szpikowej z cechami zależnymi od mielodysplazji (ang. acute myeloid leukaemia with myelodysplasia-related changes, AML-MRC).
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację sprowadzanego z zagranicy w ramach importu docelowego produktu leczniczego Bedrolite, CBD 9% + THC <1% we wskazaniu: padaczka i jaskra w przebiegu zespołu Sturge'a-Webera.
4. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Tagrisso (ozymertynib) we wskazaniu: rak niedrobnokomórkowy płuca (ICD-10: C34) z mutacją kierującą EGFR: p.Gly719Ala (c.2156G>C); p.Gly719Ser (c.2155G>A); p.Gly719Cys (c.2155G>T) w eksonie 18.



5. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Adcetris (brentuximab vedotin) we wskazaniu: agresywny chłoniak z obwodowych limfocytów T CD30+ (ICD-10: C84.4).
6. Przygotowanie opinii o projektach programów polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego:
 - 1) „Program badania wzroku dla uczniów szkół podstawowych Gminy Nowogard na lata 2020-2022”,
 - 2) „Program profilaktyki wad postawy ciała uczniów szkół podstawowych Gminy Nowogard na lata 2020-2022”,
 - 3) „Program profilaktyki próchnicy zębów dla uczniów klas I-III szkół z terenu Gminy Nowogard na lata 2020-2022” ,
 - 4) „Program profilaktyki chorób piersi i gruczołu sutkowego u kobiet zamieszkujących Miasto Zielonka na lata 2020-2022” .
7. Zakończenie posiedzenia.

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

Rada jednogłośnie (8 głosów „za”) przyjęła zaproponowany porządek obrad.

Ad 2. Analityk Agencji omówił najważniejsze informacje z raportu dla leku Vyxeos liposomowy (wniosek refundacyjny) we wskazaniu dotyczącym leczenia nowo rozpoznanej ostrej białaczki szpikowej zależnej od terapii lub ostrej białaczki szpikowej z cechami zależnymi od mielodysplazji.

Do posiedzenia dołączyła Anetta Undas, która nie zadeklarowała konfliktu interesów.

Propozycję stanowiska Rady przedstawił Dariusz Jarnutowski.

W dyskusji i formułowaniu finalnej wersji stanowiska głos zabrali: Michał Myśliwiec, Dariusz Jarnutowski, Anetta Undas oraz Kamila Malinowska.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 głosów „za”) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 1 do protokołu).

Ad 3. Analityk Agencji podsumował raport dla produktu leczniczego Bedrolite (import docelowy) we wskazaniu: padaczka i jaskra w przebiegu zespołu Sturge’a-Webera, a propozycję stanowiska Rady przedstawił Janusz Szyndler.

Głos zabrali: Anetta Undas oraz Rafał Niżankowski.

Wobec braku innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 głosów „za”,) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 2 do protokołu).

Ad 4. Analityk Agencji streścił informacje z raportu dla leku Tagrisso (RDTL) we wskazaniu: rak niedrobnokomórkowy płuca z mutacją kierującą EGFR: p.Gly719Ala (c.2156G>C); p.Gly719Ser (c.2155G>A); p.Gly719Cys (c.2155G>T) w eksonie 18.

Głos zabrał Michał Myśliwiec, a następnie propozycję opinii Rady przedstawiła Anetta Undas.

W dyskusji uczestniczyli: Adam Maciejczyk, Michał Myśliwiec, Piotr Szymański, Kamila Malinowska, Anetta Undas, Janusz Szyndler oraz Anna Gręziak.

W związku z brakiem innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 8 głosami „za”, przy 1 głosie „przeciw” (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 3 do protokołu).

Ad 5. Analitik Agencji streścił informacje z raportu dla leku Adcetris (RDTL) we wskazaniu: agresywny chłoniak z obwodowych limfocytów T CD30+, a propozycję opinii Rady przedstawił Adam Maciejczyk.

W dyskusji głos zabrali: Anna Gręziak, Adam Maciejczyk oraz Michał Myśliwiec.

Wobec braku innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 8 głosami „za”, przy 1 głosie „przeciw” (9 osób obecnych) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 4 do protokołu).

Ad 6 1) Analitik Agencji omówił program polityki zdrowotnej gminy Nowogard z zakresu badań wzroku dla uczniów szkół podstawowych, a propozycję opinii Rady przedstawiła Barbara Jaworska-Łuczak.

W dyskusji głos zabrali: Rafał Nizankowski, Barbara Jaworska-Łuczak oraz Janusz Szyndler.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 8 głosami „za”, przy 1 głosie „przeciw” (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 6 do protokołu).

2) Analitik Agencji omówił program polityki zdrowotnej gminy Nowogard z zakresu profilaktyki wad postawy wśród uczniów szkół podstawowych, a propozycję opinii Rady przedstawiła Barbara Jaworska-Łuczak.

Wobec braku głosów w dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 głosów „za”) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 6 do protokołu).

3) Analitik Agencji omówił program polityki zdrowotnej gminy Nowogard z zakresu profilaktyki próchnicy zębów dla uczniów szkół podstawowych, a propozycję opinii Rady przedstawiła Anna Gręziak.

Wobec braku głosów w dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 głosów „za”) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 7 do protokołu).

4) Analitik Agencji omówił program polityki zdrowotnej miasta Zielonka z zakresu profilaktyki chorób piersi i gruczołu sutkowego, a propozycję opinii Rady przedstawiła Anna Gręziak.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 8 do protokołu).

Ad 7. Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 11:59.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 38/2020 z dnia 6 lipca 2020 roku
w sprawie oceny leku Vyxeos liposomowy
(daunorubicyna/cytarabina) we wszystkich zarejestrowanych
wskazaniach na dzień wydania decyzji

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją leku Vyxeos liposomowy (daunorubicyna/cytarabina), proszek do sporządzania koncentratu roztworu do infuzji, kod EAN 00368727109827, we wszystkich zarejestrowanych wskazaniach na dzień wydania decyzji, tj.: w leczeniu nowo rozpoznanej ostrej białaczki szpikowej zależnej od terapii (ang. therapy-related acute myeloid leukaemia, t-AML) lub ostrej białaczki szpikowej z cechami zależnymi od mielodysplazji (ang. acute myeloid leukaemia with myelodysplasia-related changes, AML-MRC) u osób dorosłych, w ramach chemioterapii, w ramach nowej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie, pod warunkiem wprowadzenia instrumentu dzielenia ryzyka, zbliżającego koszt do terapii alternatywnych.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Ostra białaczka szpikowa: ICD-10 92.0

Oceniany problem zdrowotny dotyczy dorosłych pacjentów z nowo rozpoznaną ostrą białaczką szpikową, zależną od terapii oraz pacjentów z ostrą białaczką szpikową z cechami zależnymi od mielodysplazji.

Ostra białaczka szpikowa (AML, acute myeloid leukemia) jest chorobą, w której dochodzi do klonalnej proliferacji i kumulacji niedojrzałych morfologicznie i czynnościowo komórek blastycznych, wywodzących się z prekursorowej, ztransformowanej nowotworowo komórki mieloidalnej. Naciekanie szpiku przez komórki białaczkowe prowadzi do niewydolności prawidłowej hematopoezy i w konsekwencji do niedokrwistości, małopłytkowości i neutropenii.

Ostre białaczki szpikowe stanowią około 80% wszystkich ostrych białaczek występujących u dorosłych. Mediana wieku w chwili rozpoznania wynosi ~65 lat. Zapadalność roczna wynosi 3-4/100 000 i wzrasta z wiekiem z ~1/100 000 osób w wieku 30-35 lat do >10/100 000 osób po 65 r.ż. Mężczyźni chorują nieco częściej niż kobiety (4,56 vs. 3,0/100 000/rok).



Ostra białaczka szpikowa zależna od terapii rozwija się jako następstwo wcześniejszego leczenia (głównie przeciwnowotworowego). Kluczowe znaczenie w patogenezie t-AML mają chemioterapeutyki, ale również procedura autologicznego przeszczepienia krwiotwórczych komórek macierzystych i radioterapia.

t-AML rozpoznaje się z częstością 10–36% wszystkich przypadków AML, zależnie od grupy wiekowej. Częściej występuje u kobiet, natomiast w przypadku AML de novo rozkład wśród płci jest zrównoważony. t-AML może rozwinąć się po 12-24 miesiącach po autologicznym przeszczepieniu krwiotwórczych komórek macierzystych (auto-HSCT). Ryzyko rozwoju t-AML po 5 latach od przeprowadzenia auto-HSCT wynosi 1,1–24,3%.

Ostra białaczka szpikowa z cechami zależnymi od mielodysplazji (AML-MRC) obejmuje przypadki ostrej białaczki szpikowej, w których dodatkowo występuje jedna z poniższych cech klinicznych: udokumentowana historia MDS lub MDS/MPN, kariotyp wykazujący określone nieprawidłowości współdzielone z MDS, związane z gorszym rokowaniem, z wyjątkiem del(9q), dysplazja wieloliniowa, pod warunkiem braku amputacji NPM1 lub biallelicznej mutacji CEBPA.

Zgodnie z przeglądem literatury przeprowadzonym przez wnioskodawcę, odsetek chorych określonych jako AML-MRC waha się od 11,5% do 18,7%. Częstość zachorowania na AML-MRC oraz t-AML rośnie wraz z wiekiem i jest znacznie wyższa u pacjentów powyżej 60 roku życia w porównaniu z pacjentami poniżej 60 roku życia.

Nieleczona AML prowadzi do zgonu w ciągu 2–3 miesięcy od rozpoznania. U chorych otrzymujących standardowe leczenie indukujące odpowiedź całkowitą (CR) uzyskuje się w 50–80% przypadków. Odsetek uzyskiwanych remisji jest niższy u osób w starszym wieku. U 60–85% chorych w ciągu 2–3 lat od uzyskania remisji występuje nawrót białaczki. Prawdopodobieństwo nawrotu choroby zależy głównie od grupy ryzyka cytogenetycznego AML. Przyczyną zgonu chorych z lekoopornym nawrotem białaczki jest najczęściej infekcja lub skaza krwotoczna. Prognozy dla pacjentów na t-AML są niekorzystne. Wyniki leczenia chorych na t-AML poddanych chemioterapii są znacznie gorsze niż u pacjentów ze spontanicznie rozwijającymi się ostrymi białaczkami szpikowymi.

AML-MRC charakteryzuje się niekorzystnym rokowaniem według South-West Oncology Group (SWOG) i z niekorzystnym rokowaniem według European Leukemia Net.

Mediana przeżycia całkowitego nie przekracza 6 miesięcy, szczególnie w przypadku pacjentów starszych.

Zgodnie z opinią eksperta, szacowana liczba dorosłych chorych z nowo rozpoznaną t-AML lub AML-MRC, kwalifikujących się do leczenia intensywnego, wynosi obecnie w Polsce 60.

Problem decyzyjny dotyczy wprowadzenia refundacji leku Vyxeos liposomowy (daunorubicyna/cytarabina), w ramach katalogu chemioterapii, stosowanej u dorosłych pacjentów z nowo rozpoznaną ostrą białaczką szpikową zależną od terapii oraz pacjentów z ostrą białaczką szpikową z cechami zależnymi od mielodysplazji, umożliwiając zastosowanie u pacjentów z nowo rozpoznanymi t-AML lub AML-MRC kwalifikującymi się do intensywnego leczenia alternatywną terapią wobec obecnie stosowanych schematów chemioterapeutycznych DA (daunorubicyna + cytarabina) oraz DAC (daunorubicyna + cytarabina + kladrybina).

Dowody naukowe

Wyniki analizy klinicznej pochodzą z badania randomizowanego III fazy Study 301, porównującego skuteczność i bezpieczeństwo terapii lekiem Vyxeos ze stosowaniem schematu DA we wnioskowanej populacji.

W ramach dodatkowej oceny skuteczności i bezpieczeństwa, w porównaniu z DA, uwzględniono także dwa badania II fazy: Study 204, porównujące ww. interwencje w populacji z nowo rozpoznaną AML i Study 205, porównujące lek Vyxeos z indywidualnie dobraną terapią ratunkową, w populacji z nawrotową AML.

Ponadto, przeprowadzono rozszerzoną ocenę bezpieczeństwa leczenia, która oprócz badań Study 301, Study 204 i Study 205, uwzględniała dodatkowo badania: Study 206 oraz Study 101. Study 206, to badanie jednoramienne II fazy, oceniające wpływ produktu Vyxeos na repolaryzację serca i niewydolność nerek u pacjentów z AML i ALL (ostrą białaczką limfoblastyczną). W jednoramiennym badaniu I fazy - Study 101, określano maksymalną tolerowaną dawkę produktu leczniczego Vyxeos u chorych na AML i ALL. Wszystkie te badania zostały opisane w niepublikowanej metaanalizie Cortes 2018.

Do oceny skuteczności praktycznej produktu Vyxeos u pacjentów z t-AML i AML-MRC wykorzystano badanie IV fazy typu „expanded access” opisane w pełnotekstowej publikacji Roboz 2020 oraz dwa europejskie badania typu RWD (ang. real world data) opisane w formie abstraktów: Chice 2019, Guolo 2019.

Nie odnaleziono badań porównujących bezpośrednio skuteczność i bezpieczeństwo Vyxeos vs DAC we wnioskowanym wskazaniu. W związku z powyższym, przeprowadzono porównanie pośrednie Vyxeos vs DAC, poprzez wspólny komparator – DA, wykorzystując do tego trzy badania DAC vs DA w populacji pacjentów z nowo rozpoznaną AML: Pluta 2017, Hołowiecki 2012, Hołowiecki 2004. Przeprowadzenie porównania pośredniego okazało się niemożliwe ze względu na znaczną heterogeniczność badań, przede wszystkim

ze względu na różnice populacji włączonej do badania Study 301 i badań dla schematu DAC (Pluta 2017, Hołowiecki 2012, Hołowiecki 2004). W żadnym z badań nie ograniczono populacji chorych pod względem typów AML, a jednocześnie kryteria włączenia do badań Hołowiecki 2012 i Hołowiecki 2004 uniemożliwiały udział chorych z t-AML.

Skuteczność kliniczna

Przeżycie całkowite (OS)

Wykazano istotną statystycznie przewagę produktu Vyxeos nad schematem DA w ocenie OS. Mediana OS dla pacjentów otrzymujących Vyxeos wynosiła 9,56 mies., a dla pacjentów otrzymujących DA 5,95 mies. Stwierdzono istotne statystycznie mniejsze ryzyko zgonu o 31% w grupie chorych stosujących ocenianą interwencję.

Remisja choroby

W badaniu Study 301 oceniono ogólną remisję choroby definiowaną jako łączny odsetek pacjentów, którzy osiągnęli całkowitą remisję (CR) lub całkowitą remisję bez całkowitej regeneracji neutrofili lub płytek krwi (CRi).

Szansa na uzyskanie całkowitej remisji była o 69% większa u pacjentów przyjmujących produkt Vyxeos niż w ramieniu DA, natomiast szansa na uzyskanie ogólnej remisji była większa o 77%.

Według autorów badania, czasy trwania remisji były porównywalne w obu grupach, a ich mediany wynosiły (Vyxeos vs DA): 6,93 mies. vs 6,11 mies., $p=0,291$.

Przeżycie wolne od zdarzeń

Przeżycie wolne od zdarzeń (EFS) definiowano jako czas od momentu randomizacji do niepowodzenia indukcji, wznowy choroby po uzyskaniu remisji lub zgonu. Mediana EFS, uzyskana w grupie Vyxeos, była dłuższa niż mediana EFS w grupie DA (2,53 mies. vs 1,31 mies), a ryzyko wystąpienia zdarzenia było mniejsze o 26%.

Bezpieczeństwo

Zgony

W badaniu Study 301 odnotowano 106 (69%) zgonów w grupie Vyxeos i 128 (85%) w grupie komparatora (DA). Ryzyko zgonu u pacjentów przyjmujących Vyxeos było mniejsze o 16% niż u przyjmujących schemat DA.

Zdarzenia niepożądane

W badaniu Study 301 nie stwierdzono różnic w częstości występowania zdarzeń niepożądanych, prowadzących do przerwania leczenia. Odsetki wynosiły odpowiednio 2% i 1% w grupach Vyxeos i DA. W metaanalizie Cortes 2018 odsetek pacjentów, którzy doświadczyli zdarzeń niepożądanych prowadzących

do przerywania leczenia to 2% wśród stosujących Vyxeos i 1% u pacjentów należących do grup kontrolnych.

Odsetki zdarzeń niepożądanych ≥ 3 stopnia na podstawie badania Study 301 były porównywalne w obu grupach. Najczęściej występującymi zdarzeniami niepożądanymi ≥ 3 stopnia były zdarzenia niepożądane związane z infekcją (Vyxeos vs DA: 84% vs 86%), gorączka neutropeniczna (68% vs 71%), zapalenie płuc (20% vs 15%), niedotlenienie (13% vs 15%) i krwawienie (12% vs 9%).

Zgodnie z danymi z metaanalizy Cortes 2018, odsetki chorych, którzy doświadczyli zdarzeń niepożądanych w stopniu nasilenia ≥ 3 , wynosiły w obu grupach ok. 90%.

W metaanalizie Cortes 2018 porównano częstość występowania zdarzeń niepożądanych związanych z leczeniem (97% i 93% dla Vyxeos i kontroli) i poważnych zdarzeń niepożądanych (50% i 39% dla Vyxeos i kontroli).

Autorzy publikacji Lancet 2018 nie przedstawili danych dla zdarzeń niepożądanych ogółem, natomiast, według danych zaprezentowanych przez autorów Cortes 2018, zdarzenia niepożądane w dowolnym stopniu nasilenia wystąpiły u wszystkich (100%) badanych w obu grupach.

Problem ekonomiczny

Stosowanie leku Vyxeos jest [redacted] niż leczenie schematami DA i DAC. Inkrementalny współczynnik użyteczności kosztów (ICUR) dla porównania Vyxeos vs DA wyniósł [redacted]

Są to wartości [redacted] aktualnego progu opłacalności (147 024 PLN) technologii medycznych w Polsce, co powoduje [redacted]

W perspektywie NFZ:

W wariantcie podstawowym, zakładającym przejęcie przez lek Vyxeos rynku jedynie od schematów DA 60 i DA 90, refundacja wnioskowanej technologii przyczyni się do [redacted]:

– według wnioskodawcy: [redacted],

– według AOTMiT: [redacted].

W wariantcie dodatkowym ([redacted]), tj. w którym lek Vyxeos przejmuje również udziały schematu DAC, refundacja wnioskowanej technologii przyczyni się do [redacted]:

– według wnioskodawcy: [REDACTED]

– według AOTMiT: [REDACTED].

Główne argumenty decyzji

Rady Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Vyxeos liposomowy (daunorubicyna/cytarabina) we wnioskowanym wskazaniu, pod warunkiem wprowadzenia instrumentu dzielenia ryzyka. Wyniki analizy klinicznej wskazują na istotnie statystyczną różnicę na korzyść zastosowania terapii Vyxeos liposomowy nad schematem DA, w zakresie wydłużenia przeżycia całkowitego (OS) oraz szansy na uzyskanie remisji, przy braku stwierdzenia znaczących rozbieżności w wynikach osiągniętych w zakresie głównych punktów końcowych, takich jak mediana OS czy odpowiedź na leczenie przy porównaniu terapii produktem leczniczym Vyxeos liposomowy ze schematem DAC.

Pomimo, iż wyniki analizy ekonomicznej wskazują, że oszacowany inkrementalny współczynnik kosztu użyteczności (ICUR) ocenianej terapii, w porównaniu ze schematem DA oraz w porównaniu ze schematem DAC, [REDACTED], wprowadzenie instrumentu dzielenia ryzyka pozwoliłoby zmniejszyć obciążenie dla płatnika.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2020 r., poz. 357 z późn. zm.), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 1373 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OT.4332.1.2020 „Wniosek o objęcie refundacją leku Vyxeos liposomowy (daunorubicyna/cytarabina) we wskazaniu: w całym zakresie zarejestrowanych wskazań i przeznaczeń”. Data ukończenia: 25 czerwca 2020 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy Jazz Pharmaceuticals Ireland Ltd.

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Jazz Pharmaceuticals Ireland 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: Jazz Pharmaceuticals Ireland Ltd.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

**Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 39/2020 z dnia 6 lipca 2020 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację produktu
leczniczego Bedrolite (Cannabis flos Bedrolit) we wskazaniach:
padaczka i jaskra w przebiegu zespołu Sturge'a-Webera**

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację produktu leczniczego Bedrolite (Cannabis flos Bedrolit), CBD 9% + THC <1%, granulata 5 g, we wskazaniach: padaczka i jaskra w przebiegu zespołu Sturge'a-Webera.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Przedmiot zlecenia MZ

Minister Zdrowia zlecił zbadanie zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego zawierającego kannabinoidy: Bedrolite, Cannabis flos Bedrolite susz, CBD 9% + THC < 1%, opakowanie 5 g we wskazaniu padaczka i jaskra w przebiegu zespołu Sturge'a-Webera w ramach importu docelowego.

Problem zdrowotny

Zespół Sturge'a-Webera, znany również jako naczyńniakowość twarzowo-mózgowa, jest chorobą rzadką, częstość występowania choroby szacuje się na 1/20 000-50 000 żywych urodzeń. Charakteryzuje się on występowaniem płaskiego naczyńniaka na twarzy oraz mózgowych i ocznych malformacji naczyńniowych, które prowadzą do zaburzeń neurologicznych i uszkodzenia wzroku. Objawy zespołu mają tendencję do pogarszania się wraz z wiekiem. Nasilone występowanie drgawek we wczesnym wieku wiąże się ze zwiększonym prawdopodobieństwem rozwoju upośledzenia intelektualnego.

Zlecenie dotyczy niespełna 18-letniego pacjenta z zespołem Sturge'a Webera, z potwierdzoną padaczką oporną na leczenie oraz towarzyszącą jaskrą (powodującą bardzo silne dolegliwości bólowe doprowadzające do samookaleczeń). U pacjenta w leczeniu napadów padaczkowych stosowano Depakine, Sabril, Luminal, Topamax, Clonazepam, Trileptal, Frisium, Vetira, Neurotop, Lamilept, Gabapetin oraz Relsed, jednakże stosowane leczenie nie było skuteczne. Pacjent został objęty programem leczenia kannabinoidami. Włączenie produktu Bedrolite spowodowało znaczne zmniejszenie częstości napadów padaczkowych oraz zredukowanie bólu związanego z jaskrą. Próby włączenia



preparatu kannabidiolu, dostępnego na rynku, zakończyły się niepowodzeniem z powodu wystąpienia działań niepożądanych, w wyniku których konieczne było odstawienie leku.

Dowody naukowe

Skuteczność i bezpieczeństwo

Nie odnaleziono badań, w których oceniano skuteczność i bezpieczeństwo produktu Bedrolite w leczeniu zespołu Sturge`a-Webera. W badaniu Kaplan 2017, w którym oceniano skuteczność i bezpieczeństwo stosowania kannabidiolu (Epidiolex) u pacjentów z lekooporną padaczką, lek stosowano także u pięciu pacjentów z zespołem Sturge`a-Webera. Częstość napadów padaczkowych uległa poprawie u czterech pacjentów ($n=4/5$) po 14 tyg. terapii, odpowiednio o 10%, 83%, 33% i 90% oraz w czasie ostatniego pomiaru (po 38-82 tyg. leczenia) o 12%, 100%, 83%, 64%. Wszyscy pacjenci zgłaszali poprawę jakości życia podczas terapii kannabidiolem.

W przeglądzie systematycznym Whiting 2016, oceniano skuteczność i bezpieczeństwo stosowania kannabinoidów w leczeniu lub łagodzeniu objawów jaskry. Nie wykazano istotnych statystycznie różnic w zmniejszeniu ciśnienia wewnątrzgałkowego u pacjentów z jaskrą, poddanych terapii kannabidiolem, w porównaniu do placebo. Jednakże w przeglądzie Stockings 2018 wykazano efektywność kannabinoidów w leczeniu bólu. Wykazano, iż pacjenci stosujący kannabinoidy mieli 1,31 razy większą szansę redukcji bólu o ok. 30% (OR= 1,31, 95% CI 1,02 do 1,69), w porównaniu z pacjentami stosującymi placebo. Szansa redukcji bólu o 50% była większa w grupie leczonej kannabinoidami, jednak wynik nie był istotny statystycznie (OR= 1,43, 95% CI 0,97 do 2,11).

Efektywność kannabidiolu w napadach padaczkowych opornych na leczenie, w tym w napadach padaczkowych w przebiegu zespołu Dravet oraz Lennox-Gastauta, przedstawiono w przeglądzie systematycznym Chen 2019. Przegląd ten oparto na danych pochodzących z randomizowanych, wieloośrodkowych, podwójnie zaślepionych i kontrolowanych placebo badań GWPCARE 1, 3 i 4., do których włączano pacjentów w wieku od 1 do 30 lat. W badaniu GWPCARE1 wykazano, że stosowanie kannabidiolu w porównaniu z placebo, prowadzi do istotnego statystycznie zmniejszenia częstości napadów padaczkowych – redukcja częstości napadów 22,8% ($p=0,01$). W badaniu GWPCARE3 stosowanie kannabidiolu (20 mg/kg/dobę) również powodowało istotne zmniejszenie częstości napadów padaczkowych o 21,6% ($p=0,005$). Podobne wyniki uzyskano w przypadku badania GWPCARE4, gdzie zaobserwowano zmniejszenie częstości napadów w grupie otrzymującej kannabidiol o 17,21% ($p= 0,0135$). Inne przeglądy systematyczne (Wong 2017, Gloss 2014, Barnes 2016), dotyczące stosowania kannabinoidów w leczeniu padaczki lekoopornej wskazują, że kannabinoidy mogą mieć korzystny wpływ w napadach padaczkowych

o różnej etiologii, w tym w padaczce odpornej na leczenie. Jednakże badania włączone do wyżej wymienionych przeglądów w większości nie były kontrolowane placebo.

Zdarzenia niepożądane obserwowano u większości pacjentów leczonych kannabidiolem (u ponad 85% pacjentów), jednakże zazwyczaj miały one łagodne lub umiarkowane nasilenie. Poważne działania niepożądane były rzadsze i najczęściej obejmowały zaburzenia pracy wątroby, senność i letarg. Należy jednak zauważyć, że brakuje danych dotyczących długoterminowego stosowania kannabinoidów, w szczególności w aspekcie wpływu na funkcje poznawcze oraz zachowanie.

Rekomendacje kliniczne i refundacyjne

Zgodnie ze stanowiskiem CCN 2018 roku, u pacjentów z zespołem Sturge'a-Webera nie ma jasno określonych terapii z wyboru, a ze względu na wysoką częstość występowania objawów padaczkowych, istnieje potrzeba prowadzenia badań klinicznych z zastosowaniem kannabinoidów. W wytycznych nie odniesiono się do możliwości stosowania kannabinoidów w leczeniu objawów bólowych, związanych z występowaniem jaskry lub zmian anatomicznych gałki ocznej, a jedynie wymieniono terapie stosowane w celu obniżenia ciśnienia wewnątrzgałkowego.

W wytycznych NICE 2012 (zaktualizowanych w 2020 r.), dotyczących diagnostyki i leczenia padaczek, wskazano, iż pacjenci z zespołem Sturge'a-Webera powinni być kierowani do ośrodków trzeciego stopnia, zajmującymi się leczeniem padaczek. Nie przedstawiono jednak szczegółowych zaleceń postępowania. W przypadku zaleceń dotyczących napadów padaczkowych różnych typów, nie wymieniono możliwości stosowania preparatów opartych na medycznej marihuanie.

Wytyczne kliniczne AES 2019 wskazują, że kannabidiol jest umiarkowanie skuteczny w leczeniu pacjentów z napadami padaczkowymi, zarówno w przebiegu zespołu Lennox-Gastaut (LGS), jak i zespołu Dravet. Wytyczne TGA 2017 wskazują, że leczenie padaczki wyciągami z konopi leczniczych lub kannabinoidów może być zalecane tylko jako leczenie wspomagające, w przypadku gdy wypróbowano konwencjonalne metody leczenia, które okazały się nieskuteczne w leczeniu objawów pacjenta. TGA zaleca także, aby rola kannabidiolu w leczeniu była terapią wspomagającą w padaczce lekoopornej, w której nie udało się uzyskać właściwej kontroli napadów przy pomocy czterech lub pięciu innych leków przeciwpadaczkowych.

Problem ekonomiczny

Roczny koszt stosowania produktu Bedrolite u 1 pacjenta, przy założeniu stosowania środka w postaci naparu, spożywanego jeden raz dziennie (0,2 litra), oszacowany na podstawie danych MZ wyniesie ok. 4,0 tys. PLN.

Główne argumenty decyzji

Zdaniem Rady, dostępne w tej chwili słabej i umiarkowanej jakości dowody naukowe wskazują na zasadność stosowania kannabidiolu w przypadku leczenia opornych napadów padaczkowych. Opublikowane badania potwierdzają jego umiarkowaną skuteczność, przy akceptowanym profilu działań niepożądanych. Należy jednak zauważyć, że badania dotyczyły podawania kannabidiolu w ściśle zdefiniowanej dawce. Brak jest danych pochodzących z kontrolowanych badań klinicznych, dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa klinicznego preparatu Bedrolite (1%>THC, 9% - CBD). Jednakże, we wnioskowanym przypadku, u pacjenta odstawiono preparat zawierający czysty kannabidiol, z powodu działań niepożądanych, a zastosowanie preparatu Bedrolite spowodowało redukcję częstości napadów padaczkowych oraz poprawę w zakresie dolegliwości bólowych związanych z jaskrą.

Ponadto, biorąc pod uwagę niepewność w stosunku statusu rejestracyjnego produktu Bedrolite, jako produktu leczniczego, a także brak spełnienia wymagań, określonych w art. 24 ustawy z dnia 25 sierpnia 2006 r. o bezpieczeństwie żywności i żywienia (Dz.U. 2006 nr 171 poz. 1225), dla środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, istnieją wątpliwości, co do formalnej możliwości refundowania produktów zawierających kannabinoidy w ramach procedury importu docelowego.

Podsumowując, w świetle bardzo niskich obciążeń budżetowych, potwierdzonej efektywności produktu Bedrolite u pacjenta, którego dotyczy zlecenie, braku możliwości zastosowania czystego kannabidiolu z powodu nieakceptowalnych działań niepożądanych, jak również faktu, że ewentualne finansowanie produktu Bedrolite będzie wiązało się z bardzo niskimi obciążeniami budżetowymi, Rada uznaje finansowanie wnioskowanej technologii w opisywanym, jednostkowym przypadku, za zasadne.

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 późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania nr: OT.4311.6.2020 „Bedrolite (Cannabis flos Bedrolit) we wskazaniu padaczka i jaskra w przebiegu zespołu Sturge’a – Webera”, data ukończenia: 30 czerwca 2020 r.



Rada **Przejrzystości**

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 164/2020 z dnia 6 lipca 2020 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Tagrisso (ozymertynib) we wskazaniu: rak niedrobnokomórkowy płuca (ICD - 10: C34) z mutacją kierującą EGFR: p.Gly719Ala (c.2156G>C); p.Gly719Ser (c.2155G>A); p.Gly719Cys (c.2155G>T) w eksonie 18

Rada Przejrzystości uważa za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Tagrisso (ozymertynib), tabletki powlekane, 80 mg, 30 tabletek, we wskazaniu: rak niedrobnokomórkowy płuca (ICD - 10: C34) z mutacją kierującą EGFR: p.Gly719Ala (c.2156G>C); p.Gly719Ser (c.2155G>A); p.Gly719Cys (c.2155G>T) w eksonie 18.

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Niedrobnokomórkowy rak płuca (NDRP) stanowi 85% przypadków raka płuca, odpowiedzialnego za 28% i 17% zgonów z powodu choroby nowotworowej odpowiednio, u mężczyzn i kobiet. Odsetek 5-letnich przeżyć ogółu chorych z rakiem płuca wynosi zaledwie 10%. W stadium rozsiewu mediana czasu przeżycia chorych na raka płuca nie przekracza 12 miesięcy.

Niedrobnokomórkowy rak płuca jest u 10% chorych rasy białej związany z mutacjami w genie kodującym receptor naskórkowego czynnika wzrostu (EGFR). Najczęstsze mutacje aktywujące w tym genie to delecja w eksonie 19. Lub substytucja L858R w eksonie 21, które częściej występują u osób niepalących lub byłych palaczy tytoniu oraz tych z gruczolakorakiem płuca. Szacuje się, że 10-15% chorych w tej podgrupie posiada rzadkie mutacje genu EGFR. Ocenia się, że wśród mutacji genu EGFR 2-5% stanowią mutacje w eksonie 18, w tym p.Gly719Ala, Gly719Ser i p.Gly719Cys. Leczenie chorych z rzadkimi mutacjami powinno być zindywidualizowane.

Wniosek dotyczy pacjenta z niedrobnokomórkowym rakiem płuc z rozsiewem do kręgosłupa (przerzut w Th3), u którego wykryto mutacje w genie EGFR: p.Gly719Ala (c.2156G>C); p.Gly719Ser (c.2155G>A); p.Gly719Cys (c.2155G>T)



w eksonie 18. Pacjent był leczony radykalnie operacyjnie a następnie za pomocą radykalnej radioterapii po wznowie w kikucie oskrzela. Pacjent nie był leczony systemowo z powodu choroby rozsianej. Pacjent jest w stanie bardzo dobrym i nadal pracuje. Pacjent nie został zakwalifikowany do leczenia w ramach programu lekowego „Leczenie niedrobnokomórkowego raka płuca” B6, w oparciu o najlepszą aktualną wiedzę kliniczną lekarza prowadzącego, wymagająca zastosowania leku o wyższej skuteczności, preferowanego w europejskich zaleceniach (wyjaśnienia otrzymane z MZ w dniu 18.06.2020).

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Produkt Tagrisso (ozymertynib) jest zarejestrowany w następujących wskazaniach: 1) leczenie pierwszego rzutu dorosłych pacjentów z miejscowo zaawansowanym lub uogólnionym NDRP, z mutacjami aktywującymi w genie kodującym EGFR; 2) leczenie dorosłych pacjentów z miejscowo zaawansowanym lub uogólnionym NDRP z obecną mutacją T790M w genie EGFR.

Zgodnie z obwieszczeniem MZ (z dnia 18.02.2020 r.) Tagrisso (ozymertynib) jest obecnie refundowany w ramach programu lekowego B.6. „Leczenie niedrobnokomórkowego raka płuca (ICD-10: C34)”. Wymagane jest wtedy stwierdzenie mutacji T790M w eksonie 20 genu EGFR, obserwowanej u ok. 2% chorych z mutacjami w tym genie. Obecnie w leczeniu chorych na niedrobnokomórkowego raka płuca z mutacją w genie EGFR, w ramach pierwszej linii (chorzy wcześniej nie poddawani systemowemu leczeniu z powodu zaawansowanego nowotworu), ze środków publicznych finansowane są: erlotynib, gefitynib oraz afatynib.

W wyniku przeglądu systematycznego Agencji odnaleziono 2 przeglądy systematyczne o niskiej jakości, dotyczące leczenia NDRP z rzadkimi mutacjami EGFR w eksonie 18: Harrison 2019 (8 badań) oraz Zhang 2019 (6 badań). Przegląd Harrisona z 2018 pokazał, że wskaźnik obiektywnej odpowiedzi na leczenie (ORR) dla pacjentów leczonych ozymertynibem wynosi 52,6% w porównaniu z ORR 36,8% dla pacjentów leczonych gefitynibem lub erlotynibem. Autorzy przeglądu Zhang 2019 wyciągnęli wniosek, że mutacja G719X w eksonie 18 genu EGFR jest wrażliwa na działanie inhibitorów kinazy tyrozynowej EGFR, a pacjenci z mutacjami G719X leczeni afatynibem lub ozymertynibem mają lepsze rokowanie niż ci otrzymujący inhibitory kinazy tyrozynowej starszych generacji.

Ponadto, w badaniu II fazy wielośrodkiem, otwartym, jednoramiennym KCSG-LU15-09 (Cho 2019), także włączonym do przeglądów Harrison 2019 i Zhang 2019 (wtedy w postaci abstraktu konferencyjnego Ahn 2018), oceniającym skuteczność i bezpieczeństwo stosowania ozymertynibu u pacjentów z rakiem niedrobnokomórkowym płuca i rzadkimi mutacjami EGFR wykazano, że u 19 chorych z mutacją G719X genu EGFR, w tym 28% z przerzutami do kości, odpowiedź na leczenie obserwowano u 10 (53%, 95% CI 28-77) pacjentów,

a mediana PFS wyniosła 8,2 miesiąca (95%CI 6,2-10,2). Badanie przeprowadzono u chorych z Azji, gdzie częstość występowania mutacji w eksonie 18 jest większa i sięga 40% chorych z mutacjami w genie EGFR.

Zidentyfikowano także opis przypadku 38-letniego pacjenta (Tamiya i wsp. Z 2020 roku), u którego zastosowano ozymertynib 80 mg/d w pierwszej linii leczenia w zaawansowanym gruczolakoraku płuca, u chorego wcześniej niepoddanego leczeniu radykalnemu, stwierdzając zmniejszenie wielkości guza, ale po 4 miesiącach pojawiły się przerzuty do kości i terapię zmieniono, wykrywając mutacje mogące tłumaczyć oporność na lek (m.in. mutacja G719S genu EGFR) metodą NGS.

Nie odnaleziono badań pierwotnych, bezpośrednio porównujących ozymertynib z alternatywnymi technologiami we wnioskowanym wskazaniu.

Konsultant krajowy w dziedzinie onkologii klinicznej ocenił, że skuteczność leku we wnioskowanym wskazaniu nie została określona, wskazując na możliwość stosowania chemioterapii opartej na pochodnych platyny.

W wytycznych praktyki klinicznej, dotyczących niedrobnokomórkowego raka płuca z mutacją EGFR, w pierwszej linii leczenia należy zastosować inhibitor kinazy tyrozynowej EGFR. Polskie wytyczne (PTOK 2019) wskazują na podobną skuteczność erlotynibu, gefitynibu lub afatynibu.

Europejskie wytyczne (ESMO 2018/2019) wskazują, że u pacjentów z mutacją aktywującą w genie EGFR spośród EGFR TKL, należy preferować ozymertynib (silne zalecenie klasy I, wiarygodność danych A). Jednak, wobec rzadkości mutacji w eksonie 18 genu EGFR, dostępne wytyczne nie odnoszą się dokładnie do nieprawidłowości występujących u pacjenta, którego dotyczy wniosek. Chemioterapia z użyciem pochodnych platyny, sugerowana przez ankietowanego eksperta, nie została wymieniona w aktualnych wytycznych europejskich ESMO dla chorych z mutacją aktywującą w genie EGFR.

Bezpieczeństwo stosowania

W ChPL produktu leczniczego podano, jako bardzo częste ($\geq 1/10$) działania niepożądane ozymertynibu: biegunkę, zapalenie jamy ustnej, wysypkę, suchość skóry, zanokcicę, świąd, a także: zmniejszenie liczby płytek krwi, zmniejszenie liczby leukocytów, limfocytów i neutrofilii. W badaniach klinicznych nasilenie większości objawów oceniono jako niewielkie (stopień 1. lub 2.).

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Wskazanie, którego dotyczy wniosek, zawiera się we wskazaniu rejestracyjnym produktu leczniczego Tagrisso. W badaniu rejestracyjnym FLAURA lek Tagrisso był skuteczny u pacjentów z najczęstszymi mutacjami genu EGFR, tj. z delecją w eksonie 19 lub substytucją L858R w eksonie 21, a w dokumencie EMA/396618/2018 stwierdzono, że stosowanie Tagrisso nie powinno być ograniczone do ww. mutacji genu EGFR, co wskazuje na możliwość

stosowania ozymertynibu w przypadku rzadkich mutacji EGFR (G719S, L861Q, mutacji insercyjnych eksonu 19) oraz w przypadku mutacji eksonu 20 z oczekiwaną podobną skutecznością jak przy częstych mutacjach. Krajowy Konsultant ds. Onkologii ocenił, że ta relacja nie jest określona w tej sytuacji klinicznej.

Konkurencyjność cenowa

Według wniosku, załączonego do zlecenia MZ oraz Obwieszczenia MZ z dnia 18.02.2020, koszt brutto 3 miesięcznej terapii lekiem Tagrisso (ozymertynib) wynosi [REDAKTOWANE] niż możliwa technologia alternatywna, tj. dakomitynib, Vizimpro, który jest zarejestrowany do leczenia w pierwszej linii miejscowo zaawansowanego lub w stadium rozsiewu NDPR, ale nie jest w Polsce refundowany (162 436,40 zł za 3 miesiące leczenia). W dostępnym piśmiennictwie nie znaleziono danych o stosowaniu dakomitynibu u pacjentów z rzadkimi mutacjami w eksonie 18 genu EGFR.

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 35 pacjentów w Polsce (średnia liczba potencjalnych pacjentów, oszacowana na podstawie danych eksperta), przez 3 miesiące wyniesie: [REDAKTOWANE] zł brutto.

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

Biorąc pod uwagę odnalezione dane, alternatywna technologia (dakomitynib) nie jest bardziej skuteczna ani bezpieczniejsza, a także jej zastosowania nie wspierają żadne aktualne wytyczne kliniczne, w przeciwieństwie do wnioskowanej technologii zalecanej w wytycznych europejskich.

Podsumowanie

Wnioskowana technologia - Tagrisso (ozymertynib) - jest zalecana u chorych na NDPR i mutacjami aktywującymi w genie, zgodnie z aktualnymi zaleceniami europejskimi ESMO. Chociaż u pacjenta nie zostały wyczerpane wszystkie możliwe do zastosowania dostępne technologie medyczne finansowane ze środków publicznych, uznano, że zastosowanie leku Tagrisso będzie zgodne z aktualnymi zaleceniami europejskimi opartymi na danych dla populacji chorych z tymi rzadkimi mutacjami w genie EGFR, dając ponad 50% szansę na odpowiedź kliniczną.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt 4 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 1373 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania nr: OT.422.69.2020 „Tagrisso (ozymertynib) we wskazaniu: rak niedrobnokomórkowy płuca (ICD - 10: C34) z mutacją kierującą EGFR: p.Gly719Ala (c.2156G>C); p.Gly719Ser (c2155G>A); p.Gly719Cys (c.2155G>T) w eksonie 18”, data ukończenia: 1 lipca 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 165/2020 z dnia 6 lipca 2020 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Adcetris (brentuximab vedotin) we wskazaniu: agresywny chłoniak z obwodowych limfocytów T CD30+ (ICD-10: C84.4)

Rada Przejrzystości uważa za niezasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Adcetris (brentuximab vedotin), proszek do sporządzania koncentratu roztworu do infuzji, ampułka á 50 mg, we wskazaniu: agresywny chłoniak z obwodowych limfocytów T CD30+ (ICD-10: C84.4).

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Kod rozpoznania (ICD-10 C84.4) wskazuje na typ „chłoniak z obwodowych komórek T, gdzie indziej niesklasyfikowany”, tj. PTCL- NOS (peripheral T-cell lymphoma, not otherwise specified), czyli obejmuje dość zróżnicowaną grupę nowotworów utkania chłonnego zajmujących różne lokalizacje, a pod względem komórkowym – wywodzących się z komórek z dojrzałych komórek T, NK/T lub NK. W Europie, zachorowania na nowotwory z dojrzałych komórek T i NK występują z częstością 1,5–2 przypadków na 100 tys. rocznie. Pośród wszystkich chorób nowotworowych układu chłonnego ich częstość występowania nie przekracza 10% i bardzo różni się w poszczególnych regionach świata. Rokowanie u chorych na T/NK-NHL zależy przede wszystkim od podtypu histopatologicznego, stopnia zaawansowania choroby i czynników rokowniczych.

Wniosek dotyczy pacjenta z agresywnym w rozpoznaniu histopatologicznym obrazem choroby, z zajęciem szpiku oraz OUN, u którego zastosowano leczenie: 2x CHOEP, HD-MTX+IFX (schemat zastosowany ze względu na zajęcie OUN).

Lek Adcetris jest obecnie refundowany w programie lekowym B.77. Leczenie opornych i nawrotowych postaci chłoniaków CD30+ (C81 Choroba Hodgkina; C84.5 Inne i nieokreślone chłoniaki T).

Należy podkreślić, że oceniane wskazanie nie zawiera się we wskazaniach wymienionych w ChPL, nie jest również zarejestrowane przez EMA (wskazanie



off-label). Natomiast zarejestrowane jest przez FDA, ale w odniesieniu do pacjentów wcześniej nieleczonych (FDA 2019).

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Do oceny efektywności klinicznej włączono jedno badanie randomizowane III fazy ECHELON-2 (Horwitz 2018), które było badaniem rejestracyjnym w FDA oraz wyniki badania wieloośrodkowego II fazy (Horwitz 2014). W badaniu ECHELON-2 (A+CHP vs CHOP), w całej grupie badanych pacjentów (wszystkie typy histologicznie łącznie), u pacjentów otrzymujących Adcetris, stwierdzono o 29% dłuższe PFS i o 34% dłuższe OS, aczkolwiek wnioskowane wskazanie stanowiło jedynie 16% populacji opisanej w analizowanym badaniu i zebrane dane nie miały wystarczającej mocy statystycznej, by ocenić skuteczność leczenia w poszczególnych podtypach histologicznych chłoniaka. Należy również podkreślić, że populacja pacjentów oceniana w badaniu nie była uprzednio leczona.

Nie odnaleziono natomiast badań oceniających zastosowanie schematu leczenia przewidzianego w ocenianym wniosku, tj. leczenia skojarzonego brentuksymabem vedotin z gemcytabiną oraz cytarabiną lub ze schematem HD-MTX/IV AC.

Bezpieczeństwo stosowania

W badaniu ECHELON-2 częstość występowania i nasilenie zdarzeń niepożądanych pojawiających się w trakcie leczenia były podobne w obu grupach. Przerwanie leczenia z powodu zdarzeń niepożądanych wystąpiło u 14 (6%) pacjentów w grupie A+CHP i 15 (7%) pacjentów w grupie CHOP. Zdarzenia niepożądane prowadzące do śmierci wystąpiły u siedmiu (3%) pacjentów w grupie A+CHP i dziewięciu (4%) pacjentów w grupie CHOP.

Wg informacji zawartych w ChPL do bardzo często ($\geq 1/10$) występujących działań niepożądanych produktu Adcetris należą: zakażenie, zakażenie górnych dróg oddechowych, neutropenia, obwodowa neuropatia czuciowa, obwodowa neuropatia ruchowa, kaszel, duszność, nudności, biegunka, wymioty, zaparcia, ból brzucha, wysypka, świąd, ból stawów, ból mięśni, zmniejszenie masy ciała.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Wskazanie, którego dotyczy wniosek nie zawiera się we wskazaniu rejestracyjnym produktu leczniczego Adcetris, tym samym, dla niniejszego wskazania EMA nie przeprowadziła oceny relacji korzyści do ryzyka. Jednocześnie, leczenie PTCL-NOS jest zarejestrowane przez FDA od 2019 roku, ale dotyczy pacjentów wcześniej nieleczonych.

Do dnia zakończenia prac nad niniejszym opracowaniem nie otrzymano również opinii od żadnego z dwóch ekspertów klinicznych, do których wystąpiono z taką prośbą.

Konkurencyjność cenowa

Według wniosku załączonego do zlecenia MZ koszt 3 cykli terapii wynosi: ██████████ brutto. Koszt ten jest wyższy niż ten wyliczony na podstawie obwieszczenia MZ (123 798,8 PLN brutto).

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

Do czasu zakończenia prac nad niniejszym opracowaniem, nie otrzymano opinii od ekspertów klinicznych, w związku z czym nie jest znana liczba pacjentów, u których można zastosować wnioskowaną technologię lekową w ramach RDTL, dlatego przedstawiono koszty ocenianej technologii lekowej na 1 pacjenta. Na podstawie przyjętych założeń koszt finansowania ze środków publicznych ocenianej technologii lekowej w ramach RDTL w przypadku 3 cykli brutto dla 1 pacjenta wyniesie: ██████████ brutto.

Należy podkreślić, że powyższe obliczenia mogą nie odzwierciedlać rzeczywistych wydatków ponoszonych przez płatnika publicznego, w związku z refundacją wnioskowanej technologii lekowej, np. ze względu na niepewności dotyczące rzeczywistej: ceny leku, liczby pacjentów, czy czasu leczenia.

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

Zgodnie z art. 47d ust 1 ustawy o świadczeniach, ocenianą technologię 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 (PTOK, NCCN, ESMO) można stwierdzić, że dla ocenianej technologii lekowej nie ma technologii alternatywnej, rozumianej jako aktywne leczenie.

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.

Główne argumenty decyzji

Głównym argumentem przemawiającym za niezasadnością finansowania, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Adcetris (brentuksymab vedotin) we wskazaniu: agresywny chłoniak z obwodowych limfocytów T CD30+ (ICD-10: C84.4) jest brak jednoznacznych dowodów naukowych na skuteczności tej terapii u pacjentów z tym rozpoznaniem.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt 4 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 1373 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania nr: OT.422.71.2020 „Adcetris (brentuksymab vedotin) we wskazaniu: agresywny chłoniak z obwodowych limfocytów T CD30+ (ICD - 10: C84.4)”, data ukończenia: 1 lipca 2020 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone kolorem czarnym stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców Takeda Polska Sp. z o.o.

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Takeda Polska 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: Takeda Polska Sp. z o.o.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości nr 166/2020 z dnia 6 lipca 2020 roku o projekcie programu „Program badania wzroku dla uczniów szkół podstawowych Gminy Nowogard na lata 2020-2022”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program badania wzroku dla uczniów szkół podstawowych Gminy Nowogard na lata 2020-2022”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMIT.

Uzasadnienie

Oceniany projekt odnosi się do konkretnego, dobrze zdefiniowanego problemu zdrowotnego, jakim są wady wzroku występujące u dzieci.

Projekt programu wpisuje się w następujący priorytet zdrowotny (mając na uwadze możliwość wdrożenia wczesnej diagnostyki i leczenia wad wzroku): „tworzenie warunków sprzyjających utrzymaniu i poprawie zdrowia w środowisku nauki, pracy i zamieszkania”, należący do priorytetów zdrowotnych wymienionych w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dn. 27 lutego 2018 r. (Dz.U. 2018 poz. 469).

Badanie okulistyczne będzie obejmowało ocenę: ostrości wzroku do dali i bliży (tablice Snellena); wady refrakcji refraktometrem przed i po porażeniu akomodacji; przedniego odcinka oka w lampie szczelinowej; dna oka oraz akomodacji; akomodacji konwergencyjnej; ustawienia oczu i równowagi mięśniowej; ruchomości gałek ocznych; badanie w kierunku egzoforii i widzenia stereoskopowego.

Pomimo braku wystarczającej liczby odpowiedniej jakości dowodów, wskazujących na zasadność prowadzenia badań przesiewowych wzroku wśród dzieci, niektóre towarzystwa naukowe (USPSTF2017, CPS 2016, NCCVEH 2015, AAPOS 2014, UK NSC 2013, RCO/OSC 2009), a także eksperci kliniczni, zalecają przeprowadzanie programów z zakresu profilaktyki wad wzroku w populacji pediatrycznej.



Uwagi do programu dotyczą sformułowania celów, wskaźników oraz ewaluacji, które powinny zostać poprawione zgodnie z uwagami zawartymi w raporcie 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.441.45.2020 „Program badania wzroku dla uczniów szkół podstawowych Gminy Nowogard na lata 2020 - 2022”, data ukończenia: lipiec 2020 r. oraz Aneksu do raportów szczegółowych „Programy z zakresu profilaktyki i korekcji wad wzroku oraz chorób oczu u dzieci – wspólne podstawy oceny” z sierpnia 2017.



Rada **Przejrzystości**

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 167/2020 z dnia 6 lipca 2020 roku
o projekcie programu „Program profilaktyki wad postawy ciała
uczniów szkół podstawowych Gminy Nowogard na lata 2020-2022”

Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki wad postawy ciała uczniów szkół podstawowych Gminy Nowogard na lata 2020-2022”.

Uzasadnienie

Oceniany projekt programu odnosi się do problemu zdrowotnego, jakim są wady postawy wśród dzieci w wieku szkolnym. W treści projektu odniesiono się do charakterystyki, podziału na grupy oraz profilaktyki w zakresie nieprawidłowej postawy ciała.

Projekt programu częściowo wpisuje się w następujący priorytet zdrowotny: „tworzenie warunków sprzyjających utrzymaniu i poprawie zdrowia w środowisku nauki, pracy i zamieszkania”, należący do priorytetów zdrowotnych wymienionych w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dn. 27 lutego 2018 r. (Dz.U. 2018 poz. 469).

Kompleksowa ocena stanu zdrowia, obejmująca diagnostykę wad postawy, znajduje się w wykazie świadczeń gwarantowanych z zakresu podstawowej opieki zdrowotnej i, zgodnie z rozporządzeniem Ministra Zdrowia, powinna być przeprowadzana u dzieci w ramach testów przesiewowych, wykonywanych przez pielęgniarki lub higienistki szkolne, m.in. w czasie rocznego obowiązkowego przygotowania przedszkolnego (bądź w I klasie szkoły podstawowej), w III i V klasie szkoły podstawowej, a także w klasach I szkół gimnazjalnych i ponadgimnazjalnych. Na wszystkich wymienionych etapach edukacji, w zakresie profilaktycznego badania lekarskiego, przeprowadzane jest badanie przedmiotowe, m.in. ze szczególnym uwzględnieniem oceny rozwoju fizycznego (pomiar: wzrostu i masy ciała), w tym określenie współczynnika masy ciała (Body Mass Index – BMI) oraz oceny układu ruchu wraz z wykrywaniem zaburzeń układu ruchu, w tym bocznego skrzywienia kręgosłupa. Dodatkowo, w ramach rocznych obowiązkowych przygotowań przedszkolnych (lub w klasie I szkoły podstawowej), przeprowadza się test przesiewowy w kierunku wykrywania zniekształceń statycznych kończyn dolnych, natomiast w klasach I szkół



gimnazjalnych oraz ponadgimnazjalnych – test przesiewowy do wykrywania nadmiernej kifozy piersiowej. Powyższe działania reguluje Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 21 marca 2019 r. w sprawie ogłoszenia jednolitego tekstu rozporządzenia Ministra Zdrowia w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu podstawowej opieki zdrowotnej (Dz.U. 2019 poz. 736).

Zgodnie z opiniami ekspertów, do wzrostu liczby dzieci, u których występują wady postawy przyczynia się m.in. coraz niższa sprawność i odporność młodych organizmów, przeciążenie zarówno zajęciami obowiązkowymi, jak i dodatkowymi, siedzący tryb życia oraz ograniczenie aktywności ruchowej. Istotnym problemem jest także brak jednolitych programów, dotyczących profilaktyki i korekcji wad postawy w skali krajowej oraz na obszarze poszczególnych jednostek samorządu terytorialnego.

Postępowanie terapeutyczne musi być jednak zindywidualizowane, nie wskazane jest realizowanie zajęć korekcyjnych w formie zajęć grupowych. Proces diagnostyczno-terapeutyczny nie powinien być realizowany przez osoby lub podmioty specjalizujące się wyłącznie w diagnostyce postawy ciała, nie posiadające odpowiedniego doświadczenia w praktycznej realizacji zajęć korekcyjnych. Skuteczność zajęć korekcyjnych musi być systematycznie weryfikowana za pomocą badań diagnostycznych, prowadzonych według tych samych standardów co badania wstępne.

Prowadzone powinny być również programy edukacyjne o prawidłowym odżywianiu i aktywności fizycznej, zapobiegające nadwadze i otyłości wśród dzieci i młodzieży.

Ponadto, w raporcie AOTMiT zawartych zostało szereg uwag odnoszących się do poszczególnych części programu, które dodatkowo wpływają na jego negatywną ocenę.

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.441.46.2020 „Program profilaktyki wad postawy ciała uczniów szkół podstawowych Gminy Nowogard na lata 2020 - 2022”, data ukończenia: lipiec 2020 oraz Aneksu do raportów szczegółowych „m „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 168/2020 z dnia 6 lipca 2020 roku
o projekcie programu „Program profilaktyki próchnicy zębów
dla uczniów klas I-III szkół z terenu Gminy Nowogard
na lata 2020-2022”**

Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki próchnicy zębów dla uczniów klas I-III szkół z terenu Gminy Nowogard na lata 2020-2022”.

Uzasadnienie

Głównym założeniem projektu programu jest poprawa stanu zdrowia jamy ustnej dzieci uczących się w szkołach podstawowych z terenu gminy Nowogard, poprzez działania informacyjno-edukacyjne oraz profilaktykę pierwotną i wtórną próchnicy zębów.

Projekt programu dotyczy istotnego problemu zdrowotnego, jakim jest próchnica zębów u dzieci i młodzieży. Wpisuje się też pośrednio w priorytet zdrowotny: „tworzenie warunków sprzyjających utrzymaniu i poprawie zdrowia w środowisku nauki, pracy i zamieszkania”, wymieniony w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dn. 27 lutego 2018 r.

Prowadzenie zintegrowanej, skojarzonej profilaktyki próchnicy zębów, w tym organizacja bezpłatnej opieki stomatologicznej (profilaktycznej i leczenia) dla dzieci i młodzieży, stanowi też czwarty cel operacyjny Narodowego Programu Zdrowia na lata 2016-2020.

Populację docelową programu mają stanowić uczniowie klas I-III szkół podstawowych (7-10 lat) z obszaru gminy Nowogard oraz rodzice/opiekunowie prawni dzieci. Wnioskodawca nie wskazał liczebności populacji docelowej, która będzie objęta programem. Nie jest również możliwe oszacowanie populacji na podstawie wskazanych kosztów.

Zaplanowane interwencje to: działania edukacyjne; przegląd stomatologiczny jamy ustnej; lakowanie zębów stałych przedtrzonowych oraz zębów stałych szóstych u dzieci powyżej 8 r.ż. oraz siódmych u dzieci powyżej 14 r.ż. (starsze niż populacja docelowa).

W większości rekomendacji wskazuje się na potrzebę prowadzenia edukacji zdrowotnej w zakresie czynników ryzyka, właściwych technik higieny jamy ustnej,



skutków zdrowotnych nieleczonej próchnicy oraz konieczności regularnych kontroli stanu uzębienia (ACFF 2019, AAPD 2019a, AAPD 2019b, AAPD 2018a, AAPD 2018b, AAPD 2017a, AAPD 2017b, EPAD 2016, RACGP 2016, FDI 2016, WHO 2016, PTSD 2015, NICE 2015, ADA 2015, ADA 2014, NICE 2014, IOHSGI 2012).

Poproszeni o opinie Eksperti są zgodni co do zasadności prowadzenia przez JST programów profilaktyki próchnicy w populacji dzieci i młodzieży. Zaznaczają jednak, że w ramach tych programów nie może dochodzić do podwójnego finansowania świadczeń gwarantowanych. Wszelkie interwencje realizowane w ramach PPZ powinny w pierwszej kolejności stanowić uzupełnienie lub ulepszenie świadczeń gwarantowanych. Szczególnie należy wziąć pod uwagę takie interwencje jak: lakowanie zębów, lakierowanie zębów, fluoryzację w szkołach, ocenę indywidualnego ryzyka wystąpienia próchnicy, edukację zdrowotną zarówno dzieci jak i rodziców.

Na podstawie Rozporządzenia Ministra Zdrowia z dnia 24 września 2013 r. (Dz. U. 2019 poz. 736) w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu podstawowej opieki zdrowotnej pielęgniarka lub higienistka szkolna planuje i realizuje profilaktyczną opiekę zdrowotną nad uczniami na terenie szkoły lub w placówkach do tego przeznaczonych, w tym edukację w zakresie zdrowia jamy ustnej.

12 kwietnia 2019 roku weszła też w życie ustawa o opiece zdrowotnej nad uczniami, która nakłada na szkoły obowiązek zapewnienia opieki stomatologicznej dla wszystkich uczniów do 19 roku życia. Aby zapewnić dzieciom i młodzieży niezbędną pomoc stomatologiczną administratorzy szkoły mogą w tym celu skorzystać z dwóch ścieżek, którymi są: uruchomienie gabinetu dentystycznego w szkole lub nawiązania umowy z placówkami stomatologicznymi, które świadczą usługi w ramach kontraktu z NFZ. Zgodnie z ww. ustawą każde dziecko ma mieć zapewnioną w szkole profilaktykę zdrowotną oraz opiekę stomatologiczną.

Okres realizacji programu zaplanowany został na lata 2020-2022. Nie wskazano czy planowana jest kontynuacja działań w latach następnych.

Projekt zawiera zdawkowy opis etapów i działań podejmowanych w ramach programu. Pierwszym etapem będzie wybór realizatora programu. Informacje nt. warunków dotyczących personelu, wyposażenia i warunków lokalowych przedstawiono również w sposób zdawkowy.

W kosztach jednostkowych programu uwzględniono jedynie koszt zabezpieczenia jednego zęba ucznia przez lekarza stomatologa, który oszacowano na kwotę 25 zł (średni koszt lakowania zęba mlecznego wynosi 67 zł).

W budżecie nie uwzględniono kosztów działań edukacyjnych.

Koszt całkowity 3-letniego programu ma wynieść 24 000 zł. Program ma zostać sfinansowany ze środków gminy Nowogard.

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.441.47.2020 „Program profilaktyki próchnicy zębów dla uczniów klas I-III szkół z terenu Gminy Nowogard na lata 2020-2022”, data ukończenia: lipiec 2020 oraz raportu nr: OT.423.8.2019 „Profilaktyka próchnicy zębów u dzieci i młodzieży - Raport w sprawie zalecanych technologii medycznych, działań przeprowadzanych w ramach programów polityki zdrowotnej oraz warunków realizacji tych programów (art. 48aa ust. 1 Ustawy)” z kwietnia 2020 r.



Rada **Przejrzystości**

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 169/2020 z dnia 6 lipca 2020 roku
o projekcie programu „Program profilaktyki chorób piersi i gruczołu
sutkowego u kobiet zamieszkujących Miasto Zielonka
na lata 2020-2022”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki chorób piersi i gruczołu sutkowego u kobiet zamieszkujących Miasto Zielonka na lata 2020-2022”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

Projekt programu wpisuje się w priorytet zdrowotny: „zmniejszenie zachorowalności i przedwczesnej umieralności z powodu nowotworów złośliwych”, wymieniony w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dn. 27 lutego 2018 r. (Dz.U. 2018 poz. 469).

Problem nowotworów piersi ma charakter społeczny i ekonomiczny, wpływający negatywnie na życie jednostki, a także ekonomikę zdrowia oraz szeroko pojęte relacje interpersonalne (np. rodzinę chorego).

W styczniu bieżącego roku Agencja opiniowała podobny projekt programu, zgłoszony przez miasto Zielonka. Prezes Agencji wydał o programie opinię negatywną 20 marca b.r.

W obecnym projekcie wnioskodawca uwzględnił uwagi zawarte w Opinii Prezesa. Program ma być realizowany w latach 2020-2022 r., z możliwością kontynuacji, w zależności od decyzji Rady Miasta Zielonka i posiadanych zasobów finansowych.

Celem głównym jest uzyskanie nie mniejszego niż 70% wykonania badań mammograficznych z grupy docelowej mieszkanek Miasta Zielonka, w latach 2020-2022.

W ramach programu przewidziano realizację działań edukacyjnych, badania lekarskiego, oraz badań diagnostycznych (badanie fizykalne piersi, badanie mammograficzne).



Populację docelową programu stanowić będą kobiety w wieku powyżej 30 r.ż. (w ramach działań edukacyjnych) oraz kobiety w wieku 40-49 lat (w przypadku badań lekarskich).

W czasie 3 lat programu populacja docelowa wyniesie: w części edukacyjnej ok. 5500 kobiet, w części diagnostycznej - ok. 1750. Zdaniem Wnioskodawcy, z części edukacyjnej programu będzie mogło skorzystać 100% uczestniczek, natomiast z części diagnostycznej ok. 85% kobiet z populacji docelowej.

Projekt zawiera opis etapów i działań, podejmowanych w ramach programu. Pierwszymi etapami będą wybór realizatora oraz działania informacyjne. Realizatorem programu będzie podmiot leczniczy wybrany w drodze konkursu ofert. Określono warunki dotyczące personelu, wyposażenia i warunków lokalowych realizatora programu.

Akcja informacyjna prowadzona będzie w lokalnych mediach, jednostkach organizacyjnych samorządu terytorialnego, lokalnych podmiotach leczniczych, innych instytucjach wsparcia społecznego, a także w kościołach parafialnych.

Edukacja odbywać się będzie co najmniej cztery razy w roku i obejmie wykłady na temat promocji zdrowia, profilaktyki raka piersi oraz czynników ryzyka zachorowania, jak też spotkania instruktażowe w zakresie samobadania piersi.

Działania edukacyjne mogą być również kierowane do członków rodzin osób uczestniczących w programie. Poziom wiedzy uczestników zostanie zweryfikowany za pomocą ankiety przed oraz po przeprowadzeniu działań edukacyjnych.

W działaniach edukacyjnych szczególny nacisk położony będzie na zwiększenie zgłaszalności na badania, zarówno w ramach programu jst, jak i Populacyjnego Programu Wczesnego Wykrywania Raka Piersi. Według stanu na dzień 01.06.2020 r. z programu Populacyjnego skorzystało łącznie ok. 30,99% kwalifikujących się mieszkanek gminy Zielonka (kobiet w wieku 50-69 lat).

Zdaniem ekspertów, rolą samorządów terytorialnych jest przede wszystkim prowadzenie działań edukacyjnych, dotyczących profilaktyki raka piersi i promowanie uczestnictwa w Populacyjnym Programie Wczesnego Wykrywania.

W części diagnostycznej, po konsultacji z lekarzem, kobiety u których występuje wysokie ryzyko wystąpienia nowotworu piersi, takie jak: rak piersi wśród członków rodziny (matka, siostra, córka), obciążenia genetyczne (głównie mutacje genu BRCA1 i BRCA2), inne nowotwory w przeszłości, łagodne zmiany w piersi przebiegające z obecnością rozrostu atypowego, gęstość tkanki gruczołowej (gęsto utkana), będą miały przeprowadzone badanie fizykalne (palpacyjne) piersi.

W przypadku wykrycia nieprawidłowości, kobiety będą miały możliwość wykonania badania mammograficznego. W zależności od wskazań medycznych lekarz zdecyduje o przeprowadzeniu dalszych badań diagnostycznych, takich jak

uzupełniająca mammografia, USG piersi, biopsja cienkoigłowa, biopsja cienkoigłowa celowana (pod kontrolą USG) lub biopsja gruboigłowa.

Badanie mammograficzne jest świadczeniem gwarantowanym, realizowanym w ramach AOS. W programie określono koszt jednostkowy badania mammograficznego na 150 zł.

Program ma być sfinansowany ze środków gminy Zielonka.

Całkowity budżet programu oszacowano na 450 000 zł.

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.441.48.2020 „Program profilaktyki chorób piersi i gruczołu sutkowego u kobiet zamieszkujących Miasto Zielonka na lata 2020-2022”, data ukończenia; lipiec 2020 oraz Aneksu do raportów szczegółowych „Programy profilaktyki raka piersi – wspólne podstawy oceny” z czerwca 2015 r.