



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

BP.401.5.2021.LA

**Protokół nr 5/2021  
z posiedzenia Rady Przejrzystości  
w dniu 1 lutego 2021 roku  
w formie wideokonferencji**

Michał Myśliwiec otworzył posiedzenie o godzinie 11:17.

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

1. Anna Cieślik
2. Dariusz Jarnutowski
3. Adam Maciejczyk
4. Tomasz Młynarski
5. Michał Myśliwiec
6. Tomasz Pasierski
7. Jakub Pawlikowski
8. Janusz Szyndler
9. Anetta Undas
10. Artur Zaczyński

Proponowany porządek obrad:

1. Ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Firazyry (icatibantum) we wskazaniu: leczenie ostrych, zagrażających życiu napadów dziedzicznego obrzęku naczynioruchowego (ang. hereditary angioedema; HAE) u młodzieży i dzieci w wieku 2 lat i starszych, chorych na dziedziczny obrzęk naczynioruchowy wywołany niedoborem inhibitora esteraazy C1.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Kymriah (tisagenlecleucelum) w ramach programu lekowego: „Leczenie tisagenlecleucelem chłoniaka rozlanego z dużych komórek B (ICD-10 C83, C85)”.
4. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności wprowadzenia zmian w programie lekowym B.87 „Leczenie idiopatycznego włóknienia płuc (ICD-10 J84.1)”.
5. Przygotowanie opinii o projektach programów polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego:
  - 1) „Program polityki zdrowotnej w zakresie profilaktyki i wczesnego wykrywania chorób odkleszczowych na lata 2021-2024” (gm. Kleszczów),
  - 2) „Program polityki zdrowotnej w zakresie wczesnego wykrywania ryzyka chorób gruczołu krokowego i narządów układu moczowego u mężczyzn, mieszkańców Imielina na lata 2021-2026”,



3) „Program badania wzroku dla uczniów szkół Gminy Nowogard na lata 2021-2023”.

6. Zakończenie posiedzenia.

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

Rada jednogłośnie zatwierdziła proponowany porządek obrad.

**Ad 2.** Analityk Agencji przedstawił prezentację odnoszącą się do leku Firazyr (wniosek refundacyjny) we wskazaniu dot. leczenia napadów dziedzicznego obrzęku naczyńioruchowego, a propozycję stanowiska przedstawił Janusz Szyndler.

Głos w dyskusji zabrali: Anetta Undas i Janusz Szyndler.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 1 do protokołu).

**Ad 3.** Analityk Agencji omówił wniosek dot. produktu leczniczego Kymriah (wniosek refundacyjny) w ramach programu lekowego dot. leczenia chłoniaka rozlanego z dużych komórek B, a propozycję stanowiska przedstawił Tomasz Pasierski.

Głos w dyskusji zabrali: Janusz Szyndler, Tomasz Pasierski, Anetta Undas, Adam Maciejczyk, Tomasz Młynarski, Michał Myśliwiec.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 9 głosami „za”, przy 1 głosie „przeciw” (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 2 do protokołu).

**Ad 4.** Analityk Agencji odniósł się do proponowanych zmian w programie lekowym dot. idiopatycznego włóknienia płuc.

Rada wysłuchała opinii przedstawiciela pacjentów, dopuszczonego do wzięcia udziału w posiedzeniu.

Propozycję opinii przedstawił Dariusz Jarnutowski, po czym, wobec braku głosów w dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 3 do protokołu).

**Ad 5. 1)** Analityk Agencji przedstawił założenia programu polityki zdrowotnej gm. Kleszczów dot. profilaktyki i wczesnego wykrywania chorób odkleszczowych, a propozycję opinii przedstawiła Anetta Undas.

Głos w dyskusji zabrali: Michał Myśliwiec i Anetta Undas.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 9 głosami „za”, przy 1 głosie „przeciw” (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 4 do protokołu).

**2)** Analityk Agencji omówił program polityki zdrowotnej dla mieszkańców Imielina w zakresie wczesnego wykrywania ryzyka chorób gruczołu krokowego i narządów układu moczowego u mężczyzn.

Propozycję opinii przedstawił Jakub Pawlikowski, po czym Prowadzący wobec braku głosów w dyskusji zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 5 do protokołu).

**3)** Analityk Agencji zaprezentował informacje o programie polityki zdrowotnej gm. Nowogard dot. badania wzroku, a propozycję opinii przedstawił Tomasz Młynarski.

Propozycję opinii przedstawił Tomasz Młynarski, po czym Prowadzący wobec braku głosów w dyskusji zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 6 do protokołu).

**Ad 6.** Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 13:36.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 10/2021 z dnia 1 lutego 2021 roku

w sprawie oceny leku Firazyr (icatibantum) we wskazaniu: leczenie ostrych, zagrażających życiu napadów dziedzicznego obrzęku naczynioruchowego (ang. hereditary angioedema; HAE) u młodzieży i dzieci w wieku 2 lat i starszych, chorych na dziedziczny obrzęk naczynioruchowy wywołany niedoborem inhibitora esterazy C1

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Firazyr (icatibantum), roztwór do wstrzykiwań, 10 mg/ml, 1, amp.-strzyk., kod EAN 05909990740635, we wskazaniu: leczenie ostrych, zagrażających życiu napadów dziedzicznego obrzęku naczynioruchowego (ang. hereditary angioedema; HAE) u młodzieży i dzieci w wieku 2 lat i starszych, chorych na dziedziczny obrzęk naczynioruchowy wywołany niedoborem inhibitora esterazy C1, jako leku dostępnego w aptece na receptę, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie go za odpłatnością ryczałtową.*

*Rada Przejrzystości nie zgłasza uwag do*

#### **Uzasadnienie**

##### Problem decyzyjny

*Minister Zdrowia zlecił przygotowanie analizy weryfikacyjnej AOTMiT, stanowiska Rady Przejrzystości oraz rekomendacji Prezesa AOTMiT w przedmiocie objęcia refundacją produktu leczniczego: Firazyr, we wskazaniu leczenie ostrych, zagrażających życiu napadów dziedzicznego obrzęku naczynioruchowego (ang. hereditary angioedema; HAE) u młodzieży i dzieci w wieku 2 lat i starszych, chorych na dziedziczny obrzęk naczynioruchowy wywołany niedoborem inhibitora esterazy C1 (C1-INH).*

##### Problem zdrowotny

*Wrodzony obrzęk naczynioruchowy - to obrzęk tkanek powstający w wyniku rozszerzenia i zwiększenia przepuszczalności naczyń krwionośnych, najczęściej dobrze odgraniczony, niesymetryczny związany z niedoborem (typ I) lub zmniejszoną aktywnością (typ II) inhibitora esterazy C1-INH.*

*W HAE napady obrzęku skóry i błon śluzowych mają charakter nawrotowy i występują w ciągu całego życia, często łącznie z objawami żołądkowo-jelitowymi. Zazwyczaj pierwsze objawy chorobowe pojawiają się*



w 1 lub 2 dekadzie życia. U ok. 5% chorych z niedoborem inhibitora esterazy C1 nie występują żadne objawy kliniczne. Podśluzówkowe obrzęki gardła, języka lub krtani występują przynajmniej raz w życiu u około 50% chorych, a u części pacjentów powtarzają się wielokrotnie. Nawet pierwszy epizod obrzęku gardła lub krtani może być przyczyną ostrej niewydolności oddechowej i zgonu. Obrzęk naczynioruchowy jest zaliczany do chorób rzadkich, a ikatybant ma status leku sierocego.

#### Dowody naukowe

Wyniki skuteczności ikatybantu pochodzą z wielośrodkowego, niezaślepionego, jednoramiennego badania fazy III (Farkas 2017). Pierwszorzędownym punktem końcowym skuteczności ocenianym w badaniu był czas do wystąpienia złagodzenia objawów (TOSR). Mediana TOSR wyniosła 1,0 godzinę (95% CI: 1,0; 1,1), bez istotnych różnic między predefiniowanymi podgrupami dzieci i młodzieży. Ponad 70% pacjentów doświadczyło złagodzenia objawów po 1,1 godziny, a ponad 90% po 2 godzinach po podaniu leku. Mediana TTMS, definiowana jako czas, gdy wszystkie objawy są łagodne lub nie występują, będąca odpowiednikiem remisji klinicznej, wyniosła 1,1 godziny (95% CI, 1,0; 2,0). Wyniki dla populacji dzieci (1,9 godziny; 95% CI, 1,0; 2,0) były zbliżone do tych w populacji młodzieży (1,0 godziny; 95% CI, 1,0; 2,0). Około 50% pacjentów osiągnęło minimum objawów po 1 godzinie, a 80% po 2 godzinach po leczeniu.

Zastosowanie ikatybantu wiązało się także ze zmniejszeniem dolegliwości bólowych w obrębie twarzy w skali FPS-R. Mediana czasu do początku wystąpienia złagodzenia objawów wyniosła 1,0 godzinę (95% CI, 0,8–1,0), z podobnymi wynikami dla dzieci i młodzieży. Z kolei mediana czasu do ustąpienia objawów wyniosła 3,4 godziny (95% CI, 1,8-5,3). Wyniki dla dzieci i młodzieży były zbliżone (2,4 godziny [95% CI, 1,9-5,3] vs 3,8 godziny [95% CI, 1,0-6,8]).

#### Analiza bezpieczeństwa

Wśród 32 pacjentów, którzy otrzymali 1 wstrzyknięcie ikatybantu, włączonych do analizy bezpieczeństwa, odnotowano łącznie 32 zdarzenia niepożądane wynikające z leczenia (TEAE), które wystąpiły u 9 (28,1%) pacjentów, najczęściej u młodzieży. Wszystkie działania niepożądane były łagodne lub umiarkowane, w tym zaburzenia żołądkowo-jelitowe, które wystąpiły u 3 pacjentów (9,4%). U większości pacjentów (90,6%) wystąpiły reakcje w miejscu wstrzyknięcia, najczęściej rumień (84,4%) i obrzęk (68,8%). Większość reakcji (90% - 100%) ustępowała do 6 godzin po podaniu. U dwóch pacjentów (6,3%) wystąpiły ciężkie reakcje w miejscu wstrzyknięcia; oba ustąpiły po 6 godzinach od podania dawki.

#### Rekomendacje kliniczne

Odnaleziono 9 wytycznych klinicznych (PTA 2018, ESID 2020, ASCIA 2020, CHAEN 2019, GASMS 2019, WAO/EAACI 2018, HAWK 2017, HAEA 2016, FNCA 2015),

dotyczących leczenia ostrych, zagrażających życiu napadów dziedzicznego obrzęku naczynioruchowego wywołanego niedoborem inhibitora esteraazy C1 u młodzieży i dzieci w wieku 2 lat i starszych.

Wytyczne wskazują, że leczenie ostrych napadów powinno być natychmiastowe, stosowane również w warunkach domowych. W leczeniu napadów stosuje się substytuty inhibitora C1 składowej dopełniacza (Berinert, Cinryze) (dożylnie), rekombinowane C1-INH (Ruconest) (dożylnie) lub antagonisty receptora bradykininowego (Firazyr) (podskórnie). Zgodnie z wytycznymi, leczenie napadu HAE należy rozpoczynać jak najszybciej, szczególnie w przypadkach obrzęków zlokalizowanego w obrębie górnych dróg oddechowych, ze względu na zagrożenie dla życia pacjenta.

#### Problem ekonomiczny

Zgodnie z oszacowaniami ekonomicznymi, stosowanie Firazyru [redacted] od stosowania leku Berinert z perspektywy zarówno NFZ, jak i perspektywy pacjenta (bez uwzględnienia ewentualnego RSS dla leku Berinert). [redacted]

Odnaleziono 2 pozytywne rekomendacje refundacyjne (SMC 2018, AWMSG 2018) i jedną rekomendację negatywną (NCPE 2013). W rekomendacjach pozytywnych zwraca się głównie uwagę na skuteczność w objawowym leczeniu ostrych napadów dziedzicznego obrzęku naczynioruchowego u pacjentów.

#### Główne argumenty decyzji

Lek Firazyr jest środkiem o potwierdzonej skuteczności w dziedzicznym obrzęku naczynioruchowym. Jest zgodnie rekomendowany przez wytyczne kliniczne, które dodatkowo wskazują, że jego podskórna droga podania ułatwia natychmiastowe przeprowadzenie interwencji, również w warunkach domowych. [redacted]

#### **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 2020 r., poz. 1398 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OT.4330.17.2020 „Wniosek o objęcie refundacją leku Firazyr (ikatybant) we wskazaniu: leczenie objawowe

ostrych, zagrażających życiu napadów dziedzicznego obrzęku naczynioruchowego u młodzieży i dzieci w wieku 2 lat i starszych z niedoborem inhibitora esterazy C1". Data ukończenia: 20 stycznia 2021 r.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy Takeda Pharma Sp. z o. o.

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



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 11/2021 z dnia 1 lutego 2021 roku  
w sprawie oceny produktu leczniczego Kymriah (tisagenlecleucelum)  
w ramach programu lekowego: „Leczenie tisagenlecleucelem  
chłoniaka rozlanego z dużych komórek B (ICD-10 C83, C85)”

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Kymriah (tisagenlecleucelum), dyspersja do infuzji,  $1,2 \times 10^6 - 6 \times 10^8$  komórek, 1 worek, kod EAN: 05909991384388, w ramach programu lekowego „Leczenie tisagenlecleucelem chłoniaka rozlanego z dużych komórek B (ICD-10 C83, C85)”, w ramach nowej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie. Rada nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego.*

### Uzasadnienie

#### Problem decyzyjny

*Chłoniak rozlany z dużych komórek B (DLBCL) to najczęstszy i najgorzej rokujący z chłoniaków, reagujących jednak na chemioterapię. Większość pacjentów po zastosowaniu chemioterapii z dodaniem rytuksymabu (6-8 cykli R-CHOP) uzyskuje całkowitą i trwałą remisję lub zostaje wyleczona, jednakże u ok. 10-15% stwierdza się pierwotną oporność na leczenie, a u kolejnych 20-30% nawrót choroby. Chemioterapia ratunkowa wspomagana auto-HSCT jest możliwa do przeprowadzenia u ok. 40% chorych z nawrotem DLBCL, jednak jedynie u ok. 10% pacjentów prowadzi do wyleczenia. Chłoniak nawraca po przeszczepieniu u około 50% pacjentów. Nawrót choroby po zastosowaniu terapii ratunkowej w II linii leczenia występuje u ok 90% chorych, a do 3. i kolejnych linii leczenia kwalifikuje się ok. 80% chorych po drugim nawrocie choroby.*

*Kymriah (tisagenlecleucelum; CART) jest to terapia komórkowa limfocytami T zawierającymi chimeryczny receptor antygenowy CAR.*





[REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE]

Dowody naukowe

Opierają się na dwóch badaniach jednoramiennych: JULIET-wieloośrodkowego badania klinicznego II fazy, (publikacja Schuster 2018) i A2101J (University of Pennsylvania Study) (Schuster 2017) i porównaniu do badania CORAL (chemioterapia ratunkowa) [REDAKTOWANE]

W badaniu JULIET, prawdopodobieństwo przeżycia całkowitego po 12 miesiącach wynosiło 48,2%, po 2 latach 40,4%, natomiast po 3 latach od momentu infuzji – 36,2%. W przypadku komparatora, dla połączonych danych z obu ramion badania CORAL, prawdopodobieństwo rocznego przeżycia wyniosło 30,4%.

Problem ekonomiczny

[REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE]. Koszt produktu Kymriah w analizowanej populacji wyniesie [REDAKTOWANE] rocznie. Można się spodziewać niższych kosztów przy zastosowaniu oczekiwanej technologii krajowej.

Główne argumenty decyzji

- Skuteczność w nieuleczalnej dotychczas chorobie - III linia leczenia DLBCL,
- Rekomendacje międzynarodowych towarzystw naukowych,
- Terapia ostatniej szansy dla pacjentów, którzy wyczerpali obecne możliwości leczenia.

Uwaga Rady

W związku z wątpliwościami dot. efektywności kosztowej nowej, słabo poznanej procedury, należy rozważyć finansowanie programu w ramach środków z Funduszu Medycznego, przeznaczonych na innowacyjne technologie, i specjalny nadzór Ministra Zdrowia nad tym programem.

**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 2020 r., poz. 1398 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OT.4331.38.2020 „Wniosek o objęcie refundacją leku Kymriah (tisagenlecleucelum) we wskazaniu: w ramach programu lekowego »Leczenie tisagenlecleucelem chłoniaka rozlanego z dużych komórek B (ICD-10 C83, C85)«”.  
Data ukończenia: 22 stycznia 2020.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy Novartis Poland Sp. z o.o.

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem Novartis 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:** Novartis Poland Sp. z o.o.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

Opinia Rady Przejrzystości  
nr 23/2021 z dnia 1 lutego 2021 roku  
w sprawie zasadności wprowadzenia zmian w treści programu  
lekowego B.87 „Leczenie idiopatycznego włóknienia płuc  
(ICD-10 J84.1)”

*Rada Przejrzystości uważa za zasadne wprowadzenie zmian w treści programu lekowego B.87 „Leczenie idiopatycznego włóknienia płuc (ICD-10 J84.1)”.*

### Uzasadnienie

#### Problem decyzyjny

*Na podstawie art. 31n pkt 5 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2020 r. poz. 1398 z późn. zm.) Minister Zdrowia zlecił Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT) przygotowanie materiałów analitycznych, zgodnych z wytycznymi HTA oraz wydanie opinii Prezesa Agencji i opinii Rady Przejrzystości, w zakresie zasadności wprowadzenia zmian w treści programu lekowego: B.87 „Leczenie idiopatycznego włóknienia płuc (ICD-10 J84.1)”.*

*Zgodnie z treścią zlecenia MZ oraz załączonym do niego programem lekowym (PL), proponowane zmiany polegają m.in. na:*

- I. Ujednoliceniu zapisów dotyczących stosowania dwóch cząsteczek (pirfenidonu i nintedanib), które dotychczas były finansowane w ramach programu lekowego B.87 „Leczenie idiopatycznego włóknienia płuc (ICD-10 J84.1)”;*
- II. Zmianie kryteriów kwalifikacji do PL:
  - a) obniżono wymaganą do kwalifikacji do udziału w programie wartość FVC z „powyżej 50%” do „powyżej 35%”;*
  - b) obniżono wymaganą do kwalifikacji do udziału w programie wartość DLco z „powyżej 30%” do „powyżej 25%”;*
  - c) dodano alternatywną metodę pobrania materiału do wykonania oceny histopatologicznej: obwodową przezoskrzelową kriobiopsję płuca;**
- III. Ujednoliceniu kryteriów wyłączenia z programu;*
- IV. Ujednoliceniu zapisów dotyczących schematów leczenia;*
- V. Ujednoliceniu zapisów dotyczących badań przy kwalifikacji do programu;*



## VI. Uproszczeniu zapisów dotyczących monitorowania leczenia.

### Problem zdrowotny

Samoistne włóknienie płuc (IPF) (ICD-10 J84.14) jest specyficzną postacią śródmiąższowego zapalenia płuc, które przebiega z włóknieniem. Zmiany zapalno-zwłóknieniowe pojawiają się w obrębie najbardziej obwodowych struktur płuc – gronek. Występujące zmiany patologiczne nie mają związku z innymi chorobami i ograniczone są jedynie do płuc. Wyniki badania histopatologicznego biopsji płuc pokazują obraz zwykłego śródmiąższowego zapalenia płuc. Choroba ma charakter przewlekły i postępujący.

Za tradycyjny podział ciężkości IPF przyjmuje się klasyfikację choroby na: „łagodną”, „umiarkowaną” i „ciężką”. Pomimo, iż nie określono jednoznacznych wartości wskaźników DLco (badanie zdolności dyfuzji gazów w płucach) oraz FVC (natężona pojemność życiowa), aby wyznaczyć granicę pomiędzy IPF łagodnym i umiarkowanym, najczęściej jednak za takie wartości przyjmuje się odpowiednio: DLco 35-40% wartości oczekiwanej oraz FVC 50-55% wartości oczekiwanej.

Pośród samoistnych śródmiąższowych zapaleń płuc, samoistne włóknienie płuc jest jednostką występującą najczęściej (40–70%). Jednakże choroba zdecydowanie częściej występuje u osób po 50 r. ż., a 2/3 przypadków dotyczy pacjentów, którzy ukończyli 60 r. ż. W grupie wiekowej 35 – 45 lat zachorowalność wynosi 2,7/ 100 tys./ rok, natomiast wśród osób po 75 r. ż. – 175/ 100 tys./ rok. Częstość występowania IPF u mężczyzn wynosi 14 - 42/ 100 tys., a u kobiet 7 -13/ 100 tys. Częstość występowania IPF w Polsce nie jest znana. Średni czas przeżycia pacjenta z IPF wynosi 2,5 – 3,5 roku od momentu rozpoznania. Mniej niż 15% chorych przeżywa 10 lat. Do najczęstszych przyczyn śmierci należy: niewydolność oddechowa (40%), niewydolność serca, choroba niedokrwienna serca, zakażenia i zatorowość płucna oraz rak płuca (4 – 15%).

### Rekomendacje i wytyczne kliniczne

- I. Obniżenie wymaganej do kwalifikacji do udziału w programie wartości: FVC (>35%) i DLco (>25%)

W odnalezionych nowych wytycznych (PTChP 2020 i ATS 2019) wskazano, iż nintedanib i pirfenidon powinny być stosowane u wszystkich pacjentów z IPF, niezależnie od stopnia zaawansowania.

W odnalezionych publikacjach, w których oceniano skuteczność i bezpieczeństwo leczenia pacjentów z zaawansowanym IPF za pomocą pirfenidonu lub nintedanibu (Chung 2020, Seno 2020, Barczy 2019, Costabel 2019, Nakamura 2019, Nathan 2019, Yoon 2018\_1, Yoon 2018\_2 Harari 2018 przedstawiono wyniki dla populacji zbliżonych do ocenianych pod względem FVC </>50%, natomiast dla parametru DLco przedstawiano wyniki dla populacji </>30% oraz

</>35%. W żadnej z odnalezionych publikacji nie przedstawiono wyników dla pacjentów z DLco > 25%.

W 7 z odnalezionych publikacji (Chung 2020, Seno 2020, Barczy 2019, Costabel 2019, Nakamura 2019, Yoon 2018\_1, Yoon 2018\_2) przedstawiono wyniki dla porównania skuteczności i bezpieczeństwa stosowania pirfenidonu lub nintedanibu u pacjentów z zaawansowaną IPF oraz lekko-umiarkowaną IPF. W 2 z odnalezionych publikacjach (Nathan 2019, Harari 2018) przedstawiono wyniki dotyczące skuteczności i bezpieczeństwa stosowania pirfenidonu lub nintedanibu u pacjentów z zaawansowaną IPF.

W większości z odnalezionych publikacji nie wykazano istotnych statystycznie różnic pod względem skuteczności klinicznej stosowania nintedanibu i pirfenidonu u pacjentów z zaawansowaną i lekko-umiarkowaną postacią IPF. Pod względem profilu bezpieczeństwa wykazywano istotne statystycznie różnice, zwykle wskazujące na lepszy profil bezpieczeństwa leczenia u pacjentów z lekko-umiarkowaną postacią IPF.

W ramach analizy post-hoc wszystkich zaawansowanych pacjentów z badań rejestracyjnych ASCEND i CAPACITY dla pirfenidonu (Nathan 2019) wykazano istotny statystycznie pozytywny wpływ terapii za pomocą pirfenidonu względem placebo u pacjentów z zaawansowanym IPF.

Ankietowani eksperci kliniczni przedstawili pozytywne stanowisko dla proponowanej zmiany, pozwalającej na włączenie do przedmiotowego programu lekowego pacjentów z bardziej zaawansowaną postacią choroby (obniżenie granicznych wartości % FVC i DLco).

## II. Dodanie alternatywnej metody pobrania materiału do wykonania oceny histopatologicznej: obwodowej przezoskrzelowej kriobiopsji płuca

Rekomendację za stosowaniem obwodowej przezoskrzelowej kriobiopsji płuca w trakcie diagnostyki IPF przedstawiono w polskich wytycznych (PTChP 2020), w wytycznych amerykańskich (ATS/ERS/JRS/ALAT 2018, ATS 2018, ATS 2019), przedstawiono 2 rekomendacje dla pacjentów z określonymi cechami diagnostycznymi (raz brak rekomendacji za ani przeciw stosowaniu przedmiotowej techniki, raz rekomendacja przeciw stosowaniu techniki), w wytycznych międzynarodowych (FSW 2018) omówiono „za” i „przeciw” stosowaniu kriobiopsji w ramach diagnostyki IPF oraz wskazano, iż złotym standardem diagnostyki tkankowej IPF pozostaje operacyjna biopsja płuc.

W ramach przeprowadzonego przeglądu systematycznego odnaleziono 4 publikacje odnoszące się do zastosowania kriobiopsji u pacjentów z IPF: Kaarteenaho 2013, Ronan 2015, Lodhi 2019 oraz ze śródmiąższową chorobą płuc (ILD, w tym z IPF): Troy 2019.

W publikacji Lodhi 2019 przedstawiono dane dotyczące skuteczności biopsji chirurgicznej i kriobiopsji w stawianiu ostatecznej diagnozy IPF. Dostępne

metaanalizy szacują wydajność diagnostyczną na poziomie: 83,7-84,4% w przypadku kriobiopsji oraz 91,1-92,7% w przypadku biopsji chirurgicznej. Do dwóch najczęściej raportowanych powikłań kriobiopsji należą odma opłucnowa oraz krwawienie. Metaanalizy wskazują, że całkowite ryzyko wystąpienia odmy opłucnowej wynosi 6-10%. Ryzyko całkowite wystąpienia krwawienia jest trudne do oszacowania na podstawie dostępnych danych. Analiza zbiorcza wykazała, że szacowane ryzyko umiarkowanego i ciężkiego krwawienia wynosi od 4,9% do 39%. 30-dniowe ryzyko zgonu po przeprowadzonej biopsji chirurgicznej aktualnie wynosi około 7,1%. Natomiast oszacowane w analizach zbiorczych ryzyko zgonu po kriobiopsji wynosi od 0,1 do 2,7%. Długość pobytu w szpitalu po zabiegu kriobiopsji wynosi 3 dni w porównaniu do 6 dni w przypadku biopsji chirurgicznej.

W publikacji Troy 2019 wskazano, że biopsja chirurgiczna (VATS) może wiązać się z komplikacjami (nagłe zaostrzenie choroby, zespół bólu pooperacyjnego, śmierć), zaś kriobiopsja (TBLC) stanowi stosunkowo bezpieczniejszą i kosztowo efektywną alternatywę. Podkreślono, że istnieje wiele potencjalnych zalet TBLC w porównaniu z VATS, w tym szybszy czas rekonwalescencji i mniejsze ryzyko wystąpienia zdarzeń niepożądanych. Pomimo braku porównania bezpośredniego, ryzyko zgonu w przypadku TBLC również wydaje się być niższe w porównaniu do VATS (odpowiednio 0,3% vs 1,7%).

Ankietowani eksperci kliniczni przedstawili pozytywne stanowisko dla proponowanej zmiany, obejmującej dodanie obwodowej przezoskrzelowej kriobiopsji płuca jako metody pobierania materiału diagnostycznego.

#### Wpływ na wydatki płatnika publicznego

Zaproponowane obniżenie wartości % parametrów FVC i DLco, przy których pacjenci mogą zostać włączeni do programu lekowego B.87 będzie skutkowało zwiększeniem populacji objętej leczeniem. Pozostałe proponowane zmiany nie mają wpływu na zmianę wielkości populacji.

Oszacowane w 1 rocznym horyzoncie czasowym dodatkowe wydatki płatnika publicznego, związane z zmianami w programie lekowym B.87, przy uwzględnieniu wzrostu populacji leczonej w programie o 72 pacjentów oraz przy założeniu, że średni koszt leczenia 1 pacjenta w kolejnych latach będzie taki sam, jak w 2020 r., wyniosą ok. 8,5 mln zł.

#### Podsumowanie

W świetle odnalezionych wytycznych i badań klinicznych włączenie do programu lekowego B.87 pacjentów z zaawansowanym IPF może spowolnić progresję choroby i przedłużyć ich życie.

Nie odnaleziono dowodów naukowych dla populacji ściśle zgodnej z nowymi kryteriami włączenia, odnośnie wartości parametrów FVC (>35%) i DLco (>25%).

*Odnalezione badania wskazują na porównywalną wydajność diagnostyczną przezoskrzelowej kriobiopsji płuca w stosunku do biopsji chirurgicznej, przy mniejszym ryzyku wystąpienia zdarzeń niepożądanych i szybszym czasie rekonwalescencji.*

*Wszyscy ankietowani eksperci kliniczni przedstawili pozytywne stanowisko dla proponowanych zmian obejmujących: dodanie obwodowej przezoskrzelowej kriobiopsji płuca jako metody pobierania materiału diagnostycznego oraz pozwalających na włączanie do przedmiotowego programu lekowego pacjentów z bardziej zaawansowaną postacią choroby (obniżenie granicznych wartości FVC% i DLco). Wszyscy eksperci przedstawili również pozytywne stanowisko dla proponowanych zmian obejmujących ujednoczenie zapisów dotyczących: badań diagnostycznych, kryteriów kwalifikacji, kryteriów wyłączenia, czasu leczenia oraz monitorowania terapii lekami stosowanymi w ramach analizowanego programu lekowego.*

#### **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 2020 r., poz. 1398 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania nr: OT.4320.34.2020 „Opracowanie dotyczące oceny zasadności wprowadzenia zmian w zapisach programu lekowego B.87 »Leczenie idiopatycznego włóknienia płuc (ICD-10 J84.1)«”. Data ukończenia: 27 stycznia 2021 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia przedstawiciela pacjentów przedstawiona w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.





## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

Opinia Rady Przejrzystości  
nr 24/2021 z dnia 1 lutego 2021 roku  
o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej w zakresie profilaktyki i wczesnego wykrywania chorób odkleszczowych na lata 2021-2024” (gm. Kleszczów)

*Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej w zakresie profilaktyki i wczesnego wykrywania chorób odkleszczowych na lata 2021-2024” (gm. Kleszczów), pod warunkiem zmiany tytułu programu na „Program polityki zdrowotnej w zakresie profilaktyki kleszczowego zapalenia mózgu na lata 2021-2024”.*

### Uzasadnienie

*W ramach projektu programu zaplanowano przeprowadzenie w gminie Kleszczów w województwie łódzkim szczepień przeciwko kleszczowemu zapaleniu mózgu, jednej z tzw. odkleszczowych chorób, wraz z działaniami informacyjno-edukacyjnymi w zakresie zakażeń odkleszczowych. Celem programu jest osiągnięcie odsetka zaszczepionych osób z grup ryzyka wynoszącego przynajmniej 25% w latach 2021-24. Program wpisuje się w priorytety zdrowotne określone w rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 27 lutego 2018 roku.*

*Program został przygotowany starannie z 5 szczegółowymi celami oraz 10 miernikami efektywności. Program zawiera aktualne dane dotyczące epidemiologii i prewencji chorób przenoszonych przez kleszcze, w tym boreliozy, tularemii, ludzkiej anaplazmozy granulocytarnej, babeszjozy oraz kleszczowego zapalenia mózgu. Szczegółowo przedstawiona drogi zakażenia, przebieg naturalny, manifestacje kliniczne oraz powikłania kleszczowego zapalenia mózgu. Cenną składową programu stanowi akcja informacyjno-edukacyjna, obejmująca m.in. przeprowadzenie wykładu/pogadanki 2 razy w roku o tematyce zakażeń odkleszczowych oraz sposobu ich zapobiegania oraz przekazywanie informacji w czasie wizyty lekarskiej. Dane z badań potwierdzają skuteczność takiej strategii w zwiększaniu wiedzy na temat tej chorób odkleszczowych (Mowbray 2012). Zaplanowano właściwie ocenę efektów edukacji poprzez mierniki przy uwzględnieniu oceny przed i po interwencji. przeprowadzenie*



wykładu/pogadanki 2 razy w roku o tematyce zakażeń odkleszczowych oraz sposobu ich zapobiegania

W roku 2019 odnotowano 265 przypadków kleszczowego zapalenia mózgu w Polsce, ze znacznym wzrostem w porównaniu z rokiem 2018 (197 przypadków), a woj. łódzkie zajmuje 4 miejsce pod względem zapadalności na tę chorobę.

Szczepienia są zalecaną formą profilaktyki kleszczowego zapalenia mózgu (Polskie Towarzystwo Epidemiologów i Lekarzy Chorób Zakaźnych [PTEiLChZ] 2015, WHO 2011), a zarówno rekomendacje (WHO 2011), jak i odnalezione dowody naukowe (Demicheli 2009) wskazują na wysoką sięgającą 100% skuteczność szczepionek w tym wskazaniu. Obecnie w Polsce do obrotu dopuszczone są cztery preparaty szczepionkowe przeciwko kleszczowemu zapaleniu mózgu, w tym 2 dla dzieci. Szczepienia przeciwko kleszczowemu zapaleniu mózgu, które nie są finansowane ze środków publicznych, znajdują się w Programie Szczepień Ochronnych na rok 2021, które zaleca się osobom przebywającym na terenach o dużej częstości występowania tej choroby w szczególności: osobom zatrudnionym przy eksploatacji lasu, stacjonującemu wojsku, funkcjonariuszom straży pożarnej i granicznej, rolnikom, młodzieży odbywającej praktyki oraz osobom podejmującym aktywność fizyczną poza pomieszczeniami (biegacze, spacerowicze, grzybiarze, właściciele psów, myśliwi, rodziny z małymi dziećmi) i innym podejmującym aktywność na świeżym powietrzu (turystom, uczestnikom kolonii i obozów). Zdefiniowane przez wnioskodawcę grupy zwiększonego ryzyka spełniają zatem kryteria tego Programu Szczepień Ochronnych, a także są zgodne z zaleceniami dotyczącymi szczepień (PTEiLChZ 2015, WHO 2011). Szczepienia ogółu populacji (w tym dzieci powyżej 1 r.ż.) powinny być wykonywane na obszarach wysoce endemicznych, tj. takich na których potwierdzono co najmniej 5 przypadków klinicznych na 100 tys. osób w ciągu roku w populacji niezaszczepionej (Central European Vaccine Awareness Group [CEVAG] 2013, WHO 2011). Zgodnie z danymi Narodowy Instytut Zdrowia Publicznego - Państwowy Zakład Higieny, w 2019 roku w województwie łódzkim zarejestrowano 12 zachorowań na kleszczowe zapalenie mózgu w roku, co nie spełnia warunku ww. rekomendacji. Jednak specyfika gminy i populacji w programie zdrowotnym wskazuje, że osoby spełniające kryteria grupy wysokiego ryzyka zakażenia stanowią duży odsetek całej populacji i program nie odnosi się do klasycznych programów dla całej populacji. Aktualny opis populacji docelowej wskazuje, że „program polityki zdrowotnej planuje objąć zarówno grupę zawodową wysokiego ryzyka, jaką są czynni rolnicy, ale także osoby zamieszkujące gospodarstwa rolne i uczestniczące w pracach. Rozszerzenie grupy docelowej ponad tą, wynikająca z ryzyka zawodowego, podyktowane jest specyfiką gospodarstw rolnych”. Jak podano we wniosku, liczebność populacji docelowej ma wynieść ok. 4 600, tj. 75% mieszkańców gminy.

*W 2019 roku w województwie łódzkim wykonano 3 291 szczepień przeciwko kleszczowemu zapaleniu mózgu, co daje temu województwu 9. miejsce w Polsce pod względem wskaźnika wszczepialności, co wskazuje na potrzebę zwiększenia odsetka osób szczepionych.*

*Ponadto, eksperci kliniczni wskazują na zasadność wykonywania szczepień wśród osób, u których nie stwierdza się obecności przeciwciał przeciwko wirusowi kleszczowego zapalenia mózgu. W przedstawionym wniosku nie uwzględniono wykonywania takich oznaczeń. Jednak brak danych aby strategia tego szczepienia bez oceny poziomu przeciwciał, powszechnie stosowana w wielu krajach, zmniejszała jej skuteczność lub zwiększała ryzyko powikłań poszczepiennych.*

*W projekcie właściwie zaplanowano wybór podmiotu leczniczego w drodze konkursu i przedstawiono wymagania związane z jego realizacją, a także zasady monitorowania planowanych interwencji.*

*Całkowity koszt programu oszacowano na 550 tysięcy zł, przy koszcie na jedną osobę wynoszącym 450 zł. Analiza kosztorysu nie budzi istotnych zastrzeżeń.*

*Program ma być w pełni finansowany ze środków Gminy Kleszczów.*

#### Podsumowanie

*Kleszczowe zapalenie mózgu jest endemiczną chorobą obserwowaną w 27 europejskich krajach, w tym w Polsce, której można skutecznie zapobiec stosując dostępne i bezpieczne szczepionki. Mimo stosunkowo niewielkiej zapadalności na tę chorobę w województwie łódzkim, proponowany szeroki program szczepień w gminie Kleszczów, wsparty programem informacyjno-edukacyjnym o chorobach przenoszonych przez kleszcze, w tym boreliozie, w świetle aktualnych rekomendacji i wytycznych, powinien zostać sfinansowany ze środków publicznych.*

#### **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 2020 r., poz. 1398 z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr: OT.441.141.2020 „Program polityki zdrowotnej w zakresie profilaktyki i wczesnego wykrywania chorób odkleszczowych na lata 2021-2024” realizowany przez: Gminę Kleszczów, Warszawa, luty 2021 oraz Aneksu „Programy z zakresu profilaktyki i wczesnej diagnostyki boreliozy i innych chorób odkleszczowych – wspólne podstawy oceny” z listopada 2016.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

Opinia Rady Przejrzystości  
nr 25/2021 z dnia 1 lutego 2021 roku  
o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej w zakresie  
wczesnego wykrywania ryzyka chorób gruczołu krokowego  
i narządów układu moczowego u mężczyzn, mieszkańców Imielina  
na lata 2021-2026”

*Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej w zakresie wczesnego wykrywania ryzyka chorób gruczołu krokowego i narządów układu moczowego u mężczyzn, mieszkańców Imielina na lata 2021-2026”.*

### Uzasadnienie

*Program skierowany jest do mężczyzn w wieku 55-65 lat, zamieszkałych na terenie miasta Imielin, a wśród planowanych interwencji wyróżniono badania laboratoryjne (w tym badanie PSA), konsultację urologiczną oraz działania edukacyjne. Proponowane w programie interwencje, poza edukacją, nie mają jednak uzasadnienia w dowodach naukowych i wytycznych klinicznych w odniesieniu do planowanej populacji mężczyzn.*

*Dowody naukowe nie wskazują na istotne korzyści związane ze skryningiem populacyjnym w kierunku raka prostaty, opartym na oznaczeniu stężenia PSA z lub bez wykonania badania stercza per rectum. Większość odnalezionych dowodów naukowych (PLCO 2009, Pron 2015, Ilic 2013, Ilic 2010, Djulbegovic 2010, UPSTF – Lin 2008) wskazuje na brak istotnie statystycznego spadku umieralności mężczyzn w przypadku prowadzenia skryningu w porównaniu do braku interwencji. Odnalezione przeglądy systematyczne (USPSTF – Fenton 2018, Prescire 2009, USPSTF – Lin 2008, KCE 2006) potwierdzają, że wpływ skryningu na umieralność związaną z rakiem gruczołu krokowego jest wciąż niepewny, a wyniki fałszywie dodatnie testu są częstym powodem nadwykrywalności, zbędnego niepokoju oraz niepotrzebnych biopsji (Prescire 2009, Fenton 2018).*

*Odnalezione rekomendacje wskazują, że prowadzenie badań przesiewowych w kierunku raka gruczołu krokowego w populacji bezobjawowych mężczyzn, nie ma uzasadnienia, ze względu na małe korzyści płynące z przeprowadzonego badania i duże ryzyko występowania wyników fałszywie pozytywnych (PTOK*



2013, UK NSC 2016, SEOM 2016, ESMO 2015, 2016, Prescrire 2013, 2012, 2009, Cancer Council Australia i NHMRC 2016, RACGP 2016, CTFPHC 2014, ACP 2013, NZGG 2013, USPSTF 2012 i 2018, ICSI 2012, ACPM 2008).

Proponowane interwencje nie mają również uzasadnienia ekonomicznego. W przeglądzie systematycznym analiz ekonomicznych Tawfik 2015 stwierdza się, że populacyjne badania przesiewowe, oparte na PSA, są nieefektywne kosztowo. W przeglądzie systematycznym Lao 2015, stwierdzono, że koszt uniknięcia 1 zgonu będzie wynosił od 12/0,39 do 37/0,39 razy więcej niż koszt 1 wykrytego nowotworu. Trzeba dodać, że badanie PSA, a także wstępna ocena gruczołu krokowego są świadczeniami dostępnymi w ramach POZ i AOS. Od 1 stycznia 2015 roku obowiązuje Pakiet Onkologiczny (PO), w ramach którego pacjenci z podejrzeniem nowotworu złośliwego są diagnozowani w ramach szybkiej terapii onkologicznej.

Wytyczne (ACS 2010, 2016, ACP 2013, AUA 2013, NHMRC 2016) oraz eksperci klinicznie zwracają natomiast uwagę, że warto skoncentrować się na realizacji programów skryningu oportunistycznego, ukierunkowanego na grupy ryzyka. W odniesieniu do populacji polskiej do grup ryzyka zachorowania na nowotwór gruczołu krokowego należą mężczyźni z obciążeniem rodzinnym (EAU 2016, NCCN 2016, ACS 2010, 2016, NHMRC 2016, RACGP 2016, AUA 2013, ACPM 2008, IPCC 2008), w tym: mężczyźni powyżej 45 r.ż. z historią nowotworu gruczołu krokowego w rodzinie (EAU 2016), mężczyźni spokrewnieni z osobą ze zdiagnozowanym rakiem stercza przed 65 r.ż. (ACS 2010, 2016), a także osoby, u których wynik badania PSA w 40 r.ż. wynosił powyżej 1,0 ng/ml oraz osoby, u których wynik badania PSA w 60 r.ż. wynosił powyżej 2,0 ng/ml (EAU 2016).

Dodatkowo, analitycy Agencji wskazali również szereg uwag dotyczących sposobu formułowania celu głównego, celów szczegółowych, planowanych mierników i kosztów.

#### **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 2020 r., poz. 1398 z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr: OT.441.145.2020 „Program polityki zdrowotnej w zakresie wczesnego wykrywania ryzyka chorób gruczołu krokowego i narządów układu moczowego u mężczyzn, mieszkańców Imielina na lata 2021-2026” realizowany przez: Miasto Imielin, Warszawa, luty 2021 oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy wczesnego wykrywania raka gruczołu krokowego – wspólne podstawy oceny”, grudzień 2018.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

### Opinia Rady Przejrzystości nr 26/2021 z dnia 1 lutego 2021 roku o projekcie programu „Program badania wzroku dla uczniów szkół Gminy Nowogard na lata 2021-2023”

*Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program badania wzroku dla uczniów szkół Gminy Nowogard na lata 2021-2023”.*

#### **Uzasadnienie**

*Celem głównym programu jest poprawa stanu zdrowia uczniów szkół Gminy Nowogard poprzez zwiększenie o 20% wczesnego wykrywania i zdiagnozowania wad wzroku.*

*Program jest adresowany do dzieci uczęszczających do I, II, IV, VI i VIII klasy szkoły podstawowej oraz II klasy Liceum Ogólnokształcącego na terenie gminy Nowogard, a także – w zakresie edukacji – do ich rodziców/opiekunów. W odniesieniu do populacji uczestników programu wnioskodawca wskazał jedynie, że w gminie Nowogard jest 3762 osób w wieku 5-19 lat.*

*W programie wyszczególniono następujące interwencje: edukacja zdrowotna dzieci i rodziców (opiekunów prawnych) dzieci z populacji docelowej wraz z instruktażem prawidłowej higieny narządu wzroku przy pracy z bliska oraz sposoby na regenerację zmęczonych oczu, przesiewowe badanie ostrości wzroku do dali i bliży (tablice Snellena), a także sporządzenie pisemnej informacji dla rodziców, obejmującej stwierdzone nieprawidłowości narządu wzroku, prawidłowej higieny narządu wzroku, odpowiedniej diety, ruchu na świeżym powietrzu oraz o indywidualnych potrzebach profilaktyczno-leczniczych dziecka.*

*Koszt całkowity programu został oszacowany na kwotę 15 000 zł, czyli 5 000 zł rocznie. Nie został jednak określony koszt jednostkowy, ani też nie przedstawiono sposobu obliczenia wskazanych kosztów.*

*W 2020 r. Agencja opiniowała zbliżony projekt programu – pt. „Program badania wzroku dla uczniów szkół podstawowych Gminy Nowogard na lata 2020-2022”. Rada Przejrzystości wydała w tej sprawie opinię warunkowo pozytywną (nr 166/2020), podobnie jak Prezes Agencji (nr 42/2020). Tamten program przewidywał jednak nie tylko badanie ostrości wzroku, ale także badania: wady refrakcji refraktometrem przed i po porażeniu akomodacji; przedniego odcinka*



oka w lampie szczelinowej; dna oka za pomocą wziernika okulistycznego oraz akomodacji; akomodacji konwergencyjnej; ustawienia oczu i równowagi mięśniowej stosując cover-test jednostronny i cover-test naprzemienny; ruchomości gałek ocznych w 6 kierunkach spojrzenia; w kierunku egzoforii za pomocą testu Maddoxa; widzenia stereoskopowego (test Muchy). Przewidziane wówczas również zostało skierowanie dziecka do leczenia w ramach NFZ w razie stwierdzenia wad wzroku.

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

*Bezpośrednie dowody na skuteczność przedszkolnych badań przesiewowych w kierunku wad wzroku pozostają bardzo ograniczone i nie pozwalają na odpowiedź na pytanie, czy przeprowadzanie skryningu jest bardziej skuteczne niż jego brak (Jonas 2017, Chou 2011).*

*Dowody pośrednie wskazują, że przeprowadzenie kilku testów przesiewowych jest użyteczne w identyfikacji dzieci w wieku przedszkolnym z czynnikami ryzyka amblyopii lub innych wad wzroku. Nieprawidłowy wynik badania przesiewowego w sposób umiarkowany zwiększa prawdopodobieństwo wykrycia wady. Niektóre sposoby leczenia zaburzeń ostrości widzenia (m.in. zasłanianie zdrowego oka, okulary) są skuteczne, jednak uzyskiwana w ich wyniku poprawa ostrości widzenia jest niewielka lub średnia. W odniesieniu do niekorzystnych skutków badań przesiewowych podkreślić należy wysoki odsetek wyników fałszywie pozytywnych w populacji dzieci o niskim ryzyku występowania wad wzroku (Jonas 2017).*

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

*Mimo odpowiedniej jakości dowodów, wskazujących na zasadność prowadzenia badań przesiewowych wzroku wśród dzieci, niektóre towarzystwa naukowe (USPSTF 2017, CPS 2016, NCCVEH 2015, AAPOS 2014, UK NSC 2013, RCO/OSC 2009) zalecają przeprowadzanie programów z zakresu profilaktyki wad wzroku w populacji pediatrycznej.*

*Zasadnicze zastrzeżenia wynikające z badań naukowych*

*Większość wytycznych zaleca przeprowadzanie badań przesiewowych wzroku w populacji dzieci w wieku 3-6 lat. Dla przykładu Narodowy Panel Ekspertów The National Center for Children's Vision and Eye Health rekomenduje przeprowadzanie corocznego skryningu w kierunku wad wzroku wśród dzieci w wieku od 3 do poniżej 6 lat (NCCVEH 2015A). US Preventive Services Task Force znalazło wystarczające dowody wskazujące, że narzędzia służące do przeprowadzania badań przesiewowych wzroku mają odpowiednią dokładność w wykrywaniu wad wzroku, w tym wad refrakcji, zezów i amblyopii,*

w związku z czym rekomenduje przeprowadzanie badań przesiewowych wzroku wśród wszystkich dzieci przynajmniej raz między 3 a 5 r.ż. w celu wykrycia obecności amblyopii lub jej czynników ryzyka (USPSTF 2017).

Zgodnie z rekomendacjami Canadian Pediatric Society badanie dla osób w wieku 6-18 lat powinno być wykonywane w trakcie rutynowych badań lekarskich, a także w każdym przypadku występowania dolegliwości. Nie udowodniono korzyści dla rutynowego badania oczu u zdrowych dzieci bez czynników ryzyka powyżej 6 r.ż. (CPS 2016).

Natomiast rekomendacje AAPOS 2014B podkreślają, że u dzieci w wieku 5 lat i starszych skryning należy powtarzać co 1-2 lata od ukończenia 5 r.ż.

Zgodność organizacji proponowanego programu z organizacją programów uznawanych za skuteczne

Interwencją przewidzianą do realizacji w ramach programu jest ocena ostrości wzroku przy pomocy tablic Snellena. Działanie to jest zalecane przez Polskie Towarzystwo Ortoptyczne jako badanie podstawowe z zakresu profilaktyki i korekcji wad wzroku/chorób oczu u dzieci (PTOrt 2016). Badanie ostrości wzroku przy użyciu tablic optometrycznych dostosowanych do wieku dziecka pozostaje preferowaną metodą badań przesiewowych w kierunku wad wzroku (CPS 2016, NCCVEH 2015, AAPOS 2014A, AAPOS 2014B, RCO/OSC 2009, AAO 2007, IMD 2002).

Poziom równości dostępu osób spełniających kryteria włączenia do programu

Wnioskodawca określił kryteria włączenia, którymi są: status ucznia szkoły podstawowej z terenu gminy Nowogard oraz pisemna zgoda rodzica na udział dziecka w programie. Kryteria wykluczenia stanowiąc będą: brak pisemnej zgody rodzica/opiekuna dziecka na udział w programie, pisemna rezygnacja rodzica/opiekuna dziecka z udziału w programie oraz zdiagnozowana poza programem wada wzroku objęta leczeniem w ramach publicznego systemu ubezpieczenia zdrowotnego. Wskazane kryteria nie budzą wątpliwości.

#### Uwagi Rady

Samorządowe programy polityki zdrowotnej muszą być komplementarne w stosunku do świadczeń gwarantowanych finansowanych ze środków NFZ. We wrześniu 2019 r. weszła w życie ustawa o opiece zdrowotnej nad uczniami, przewidująca realizację w szkołach profilaktycznej opieki zdrowotnej oraz promocji zdrowia. Kompleksowa ocena stanu zdrowia jest zaś ujęta w wykazie świadczeń gwarantowanych z zakresu podstawowej opieki zdrowotnej. Stosownie do przepisów rozporządzenia Ministra Zdrowia z dnia 24 września 2013 r., wykrywanie zaburzeń ostrości wzroku jest elementem testu przesiewowego wykonywanego przez pielęgniarkę lub higienistkę szkolną, jak i profilaktycznego badania lekarskiego (bilansu zdrowia), u dzieci odbywających roczne obowiązkowe przygotowanie przedszkolne, a także



*u uczniów z klas III, V i VII szkoły podstawowej oraz ostatniej klasy szkoły ponadpodstawowej. Brak jest dowodów wskazujących na korzyści ze zwiększenia częstości wykonywania badań przesiewowych zaburzeń ostrości wzroku u dzieci w wieku szkolnym.*

*Dodatkowo, projekt programu ma liczne niedociągnięcia, wskazane w raporcie AOTMiT, w tym nie określa docelowej liczby uczestników programu oraz wiarygodnego wyliczenia jego kosztów, jak również w zbyt zdawkowy sposób przedstawia planowane działania edukacyjne.*

#### **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 2020 r., poz. 1398 z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr: OT.441.146.2020 „Program badania wzroku dla uczniów szkół Gminy Nowogard na lata 2021-2023” realizowany przez: Gminę Nowogard, Warszawa, styczeń 2021 oraz Aneksu „Programy z zakresu profilaktyki i korekcji wad wzroku oraz chorób oczu u dzieci – wspólne podstawy oceny” z sierpnia 2017.