



Rada Przejrzystości
działająca przy
Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

BP.401.6.2021.LAn

Protokół nr 6/2021
z posiedzenia Rady Przejrzystości
w dniu 8 lutego 2021 roku
w formie wideokonferencji

Rafał Niżankowski otworzył posiedzenie o godzinie 10:23.

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

1. Barbara Jaworska-Łuczak
2. Maciej Karaszewski
3. Adam Maciejczyk
4. Tomasz Młynarski
5. Rafał Niżankowski
6. Tomasz Pasierski
7. Tomasz Romańczyk
8. Piotr Szymański
9. Janusz Szyndler
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 Venclxyto (venetoclaxum) w ramach programu lekowego: „Leczenie chorych na przewlekłą białaczkę limfocytową wenetoklaksem w skojarzeniu z rytuksymabem (ICD-10: C.91.1)”.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Cabometyx (cabozantynib) w ramach programu lekowego: „Leczenie raka nerki (ICD-10 C64)”.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Ozempic (semaglutidum) we wskazaniu: cukrzyca typu 2, u pacjentów stosujących co najmniej dwa doustne leki hipoglikemizujące lub insulinę bazową w skojarzeniu z co najmniej jednym doustnym lekiem hipoglikemizującym, z HbA1c \geq 8%, z otyłością zdefiniowaną jako BMI \geq 30 kg/m² oraz z bardzo wysokim ryzykiem sercowo-naczyniowym zdefiniowanym jako: potwierdzona choroba sercowo-naczyniowa lub uszkodzenie innych narządów objawiające się poprzez: białkomocz lub przerost lewej komory, lub retinopatię, lub obecność 2 lub więcej głównych czynników ryzyka spośród wymienionych poniżej: wiek \geq 55 lat dla mężczyzn, \geq 60 lat dla kobiet, dyslipidemia, nadciśnienie tętnicze, palenie tytoniu.



5. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację sprowadzanego z zagranicy w ramach importu docelowego produktu leczniczego Leukine (sargramostim) we wskazaniu: autoimmunologiczna proteinoza pęcherzyków płucnych (APAP) po nieskutecznym płukaniu płuc (WLL) lub przeciwwskazań do jego zastosowania.
6. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Lynparza (olaparibum) we wskazaniu: rak gruczołu krokowego oporny na kastrację (ICD-10: C61).
7. Przygotowanie opinii w sprawie zmian w programie lekowym B.4. „Leczenie zaawansowanego raka jelita grubego (ICD-10 C18 – C20)”.
8. Przygotowanie opinii w sprawie oceny zasadności wprowadzenia zmian w zapisach programu polityki zdrowotnej pn. „Program badań przesiewowych noworodków w Rzeczypospolitej Polskiej na lata 2019-2022” (Minister Zdrowia).
9. Przygotowanie opinii o projektach programów polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego:
 - 1) „Program profilaktyki raka szyjki macicy mieszkank Gminy Kalisz Pomorski na lata 2021-2023”,
 - 2) „Program profilaktyki raka piersi mieszkank Gminy Kalisz Pomorski na lata 2021-2023”,
 - 3) „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania nowotworów gruczołu krokowego wśród mieszkańców Gminy Kalisz Pomorski na lata 2021-2023”.
10. Zakończenie posiedzenia.

Ad 1. Rafał Niżankowski zaproponował zmianę kolejności omawiania tematów – jako trzeci omówiony zostanie „Program profilaktyki raka piersi mieszkank Gminy Kalisz Pomorski na lata 2021-2023”. Rada jednogłośnie zaakceptowała ww. zmianę i zatwierdziła zmieniony porządek obrad.

Zmieniony porządek obrad:

2. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Venclyxto (venetoclaxum) w ramach programu lekowego: „Leczenie chorych na przewlekłą białaczkę limfocytową wenetoklaksem w skojarzeniu z rytuksymabem (ICD-10: C.91.1)”.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Cabometyx (cabozantynib) w ramach programu lekowego: „Leczenie raka nerki (ICD-10 C64)”.
4. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego: „Program profilaktyki raka piersi mieszkank Gminy Kalisz Pomorski na lata 2021-2023”.
5. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Ozempic (semaglutidum) we wskazaniu: cukrzyca typu 2, u pacjentów stosujących co najmniej dwa doustne leki hipoglikemizujące lub insulinę bazową w skojarzeniu z co najmniej jednym doustnym lekiem hipoglikemizującym, z HbA1c \geq 8%, z otyłością definiowaną jako BMI \geq 30 kg/m² oraz z bardzo wysokim ryzykiem sercowo-naczyniowym zdefiniowanym jako: potwierdzona choroba sercowo-naczyniowa lub uszkodzenie innych narządów objawiające się poprzez: białkomocz lub przerost lewej komory, lub retinopatię, lub obecność 2 lub więcej głównych czynników ryzyka spośród wymienionych poniżej: wiek \geq 55 lat dla mężczyzn, \geq 60 lat dla kobiet, dyslipidemia, nadciśnienie tętnicze, palenie tytoniu.
6. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację sprowadzanego z zagranicy w ramach importu docelowego produktu leczniczego Leukine (sargramostim) we wskazaniu: autoimmunologiczna proteinoza pęcherzyków płucnych (APAP) po nieskutecznym płukaniu płuc (WLL) lub przeciwwskazań do jego zastosowania.

7. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Lynparza (olaparibum) we wskazaniu: rak gruczołu krokowego oporny na kastrację (ICD-10: C61).
8. Przygotowanie opinii w sprawie zmian w programie lekowym B.4. „Leczenie zaawansowanego raka jelita grubego (ICD-10 C18 – C20)”.
9. Przygotowanie opinii w sprawie oceny zasadności wprowadzenia zmian w zapisach programu polityki zdrowotnej pn. „Program badań przesiewowych noworodków w Rzeczypospolitej Polskiej na lata 2019-2022” (Minister Zdrowia).
10. Przygotowanie opinii o projektach programów polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego:
 - 1) „Program profilaktyki raka szyjki macicy mieszkanek Gminy Kalisz Pomorski na lata 2021-2023”,
 - 2) „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania nowotworów gruczołu krokowego wśród mieszkańców Gminy Kalisz Pomorski na lata 2021-2023”.
11. Zakończenie posiedzenia.

Tomasz Romańczyk zgłosił konflikt interesów w zakresie leku Venclyxto, w związku z czym podczas głosowania nad pkt. 2 porządku obrad jego głos liczony będzie jako wstrzymujący. Żaden z pozostałych członków Rady nie zgłosił konfliktu interesów.

Ad 2. Analitik Agencji przedstawił prezentację odnoszącą się do leku Venclyxto (wniosek refundacyjny) w ramach programu lekowego dot. leczenia chorych na przewlekłą białaczkę limfocytową.

Rada wysłuchała opinii eksperta i przedstawiciela pacjentów, dopuszczonych do udziału w posiedzeniu.

Propozycję stanowiska przedstawił Maciej Karaszewski, a Rada, w wyniku dyskusji, w której udział brali: Rafał Niżankowski, Adam Maciejczyk, Maciej Karaszewski i Janusz Szyndler, zmodyfikowała treść stanowiska.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 9 głosami „za”, przy 1 głosie wstrzymującym, z uwagi na konflikt interesów (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 1 do protokołu).

Ad 3. Analitik Agencji omówił wniosek dot. leku Cabometyx (wniosek refundacyjny) w ramach programu lekowego dot. leczenia raka nerki.

Głos zabrał Maciej Karaszewski, Rafał Niżankowski i Adam Maciejczyk, a propozycję stanowiska przedstawił Adam Maciejczyk.

Rada doprecyzowała treść stanowiska, w czym uczestniczyli: Rafał Niżankowski, Adam Maciejczyk, Tomasz Romańczyk, Tomasz Pasiński i Maciej Karaszewski.

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

Ad 4. Analitik Agencji omówił program polityki zdrowotnej gm. Kalisz Pomorski w zakresie profilaktyki raka piersi, a propozycję opinii przedstawił Artur Zaczyński.

Głos w dyskusji zabrali: Rafał Niżankowski i Artur Zaczyński.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 3 do protokołu).

Posiedzenie opuścił Artur Zaczyński.

Ad 5. Głos we wstępnej dyskusji zabrali: Tomasz Pasierski, Rafał Niżankowski i Janusz Szyndler, a analityk Agencji zaprezentował informacje o leku Ozempic (wniosek refundacyjny) we wskazaniu dot. cukrzycy typu 2.

Głos zabrali Tomasz Pasierski, Piotr Szymański, Rafał Niżankowski, Janusz Szyndler, a propozycję stanowiska przedstawił Tomasz Pasierski. Rada doprecyzowała treść stanowiska, w czym uczestniczyli: Piotr Szymański, Rafał Niżankowski, Tomasz Pasierski i Maciej Karaszewski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 4 do protokołu).

Ad 5. Analityk Agencji przedstawił dane dot. leku Leukine (import docelowy) we wskazaniu: autoimmunologiczna proteinoza pęcherzyków płucnych, a propozycję stanowiska przedstawił Piotr Szymański.

Głos zabrał Tomasz Pasierski, a prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 5 do protokołu).

Ad 6. Analityk Agencji zaprezentował informacje dot. leku Lynparza (RDTL) we wskazaniu: rak gruczołu krokowego oporny na kastrację, a propozycję opinii przedstawił Rafał Niżankowski.

Głos zabrał Tomasz Pasierski, a prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 6 do protokołu).

Ad 7. Analityk Agencji odniósł się do proponowanych zmian w programie lekowym dot. zaawansowanego raka jelita grubego, a propozycję opinii przedstawił Tomasz Romańczyk.

Głos w dyskusji zabrali: Tomasz Pasierski, Rafał Niżankowski i Tomasz Romańczyk.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 7 do protokołu).

Ad 8. Analityk Agencji omówił program polityki zdrowotnej Ministra Zdrowia dot. badań przesiewowych noworodków. Głos zabrali: Rafał Niżankowski, Janusz Szyndler, Piotr Szymański i Tomasz Pasierski, a propozycję opinii przedstawił Janusz Szyndler.

Rada kontynuowała dyskusję, w której uczestniczyli: Rafał Niżankowski, Janusz Szyndler, Piotr Szymański i Tomasz Pasierski.

Po doprecyzowaniu treści uchwały, prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 8 głosami „za” (9 osób obecnych; w głosowaniu nie brał udziału Adam Maciejczyk, z uwagi na chwilową nieobecność na posiedzeniu) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 8 do protokołu).

Ad 9. 1) Analityk Agencji przedstawił założenia programu polityki zdrowotnej gm. Kalisz Pomorski dot. profilaktyki raka szyjki macicy. Głos zabrali Rafał Niżankowski i Tomasz Pasierski, a propozycję opinii przedstawiła Barbara Jaworska-Łuczak.

Rafał Niżankowski doprecyzował treść uchwały, po czym zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 9 do protokołu).

2) Analityk Agencji zaprezentował informacje o programie polityki zdrowotnej gm. Kalisz Pomorski dot. profilaktyki i wczesnego wykrywania nowotworów gruczołu krokowego, a propozycję opinii przedstawił Tomasz Młynarski.

Wobec braku głosów w dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 10 do protokołu).

Ad 6. Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 14:58.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 12/2021 z dnia 8 lutego 2021 roku

w sprawie oceny leku Venclyxto (venetoclaxum) w ramach programu lekowego „Leczenie chorych na przewlekłą białaczkę limfocytową wenetoklaksem w skojarzeniu z rytuksymabem (ICD-10 C91.1)”

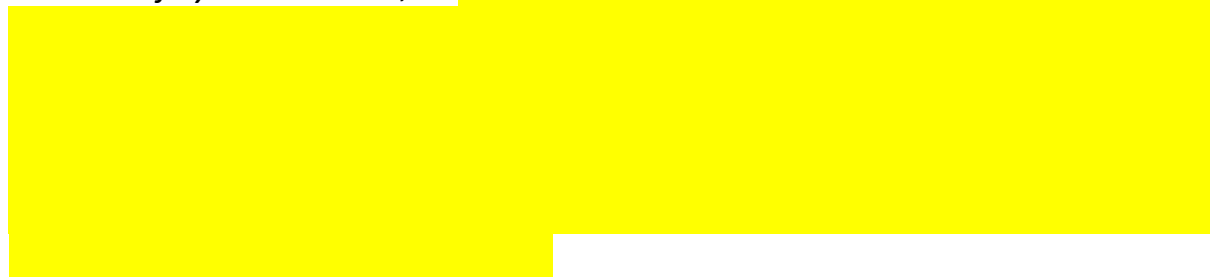
Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktów leczniczych:

- *Venclyxto, Venetoclaxum, tabletki powlekane, 50 mg, 7, tabl., kod EAN: 08054083013718,*
- *Venclyxto (venetoclaxum), tabletki powlekane, 10 mg, 14, tabl., kod EAN: 08054083013688,*
- *Venclyxto (venetoclaxum), tabletki powlekane, 100 mg, 7, tabl., kod EAN: 08054083013695,*
- *Venclyxto (venetoclaxum), tabletki powlekane, 100 mg, 14, tabl., kod EAN: 08054083013701*
- *Venclyxto (venetoclaxum), tabletki powlekane, 100 mg, 112, tabl., kod EAN: 08054083013916,*

w ramach programu lekowego „Leczenie chorych na przewlekłą białaczkę limfocytową wenetoklaksem w skojarzeniu z rytuksymabem (ICD-10 C91.1)”, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie ich bezpłatnie.

Rada Przejrzystości wnosi o połączenie ocenianego programu z innymi, dotyczącymi opornej lub nawrotowej przewlekłej białaczki limfocytowej.

Rada Przejrzystości uważa, że



Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Przewlekła białaczka limfocytowa (PBL) jest chorobą nowotworową morfologicznie dojrzałych limfocytów występujących we krwi, szpiku kostnym, tkance limfatycznej i w innych narządach. Zapadalność roczna wynosi ~5/100 tys. i wzrasta wraz z wiekiem – > 60 rż. wynosi ~20/100 tys.

W większości przypadków po fazie łagodnego przebiegu choroba kończy się okresem ciężkich powikłań i zgonem (po 5-10 latach). Przebieg łagodny, z czasem przeżycia sięgającym 10-20 lat, w którym zgony zwykle są związane z progresją PBL lub zakażeniem, występuje u < 30% chorych. U niektórych chorych choroba przebiega od początku agresywnie i prowadzi do zgonu w ciągu 2-3 lat.

Obecnie leczenie przewlekłej białaczki limfocytowej w Polsce finansowane jest ze środków publicznych w ramach programów lekowych B.103, B.92, oraz w ramach katalogu chemioterapii. Refundowane są produkty lecznicze zawierające rytuksymab, fludarabinę, bendamustynę, cyklofosfamid oraz wenetoklaks.

Uwzględniając praktykę kliniczną leczenia PBL, za podstawowy komparator dla terapii wenetoklaksem w skojarzeniu z rytuksymabem należy uznać ibrutynib oraz terapię bendamustyną w skojarzeniu z rytuksymabem, gdyż są to technologie zalecane przez wytyczne kliniczne, stosowane w praktyce klinicznej oraz finansowane ze środków publicznych

Dowody naukowe

W publikacji Cheng 2019 przedstawiono wyniki metaanalizy dla przeżycia wolnego od progresji, przeżycia całkowitego oraz przeżycia wolnego od progresji w populacji pacjentów bez delecji 17p. Wyniki porównań sugerują, że zarówno monoterapia ibrutynibem, jak i zastosowanie skojarzenia wenetoklaksu z rytuksymabem mają duże prawdopodobieństwo bycia najbardziej efektywnym leczeniem w przypadku nawrotowej lub odpornej przewlekłej białaczki limfocytowej zarówno dla oceny parametru PFS – SUCRA: 0,90, jak i OS – SUCRA: 0.85.

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

Jakość życia w badaniu MURANO została oceniona dla horyzontu 24 tygodni obserwacji wskazują na brak istotnych statystycznie różnic pomiędzy porównywanymi grupami w zakresie oceny jakości życia.

Badanie RESONATE vs. MURANO

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

W badaniu RESONATE jakość życia w analizie obejmującej najszerszy horyzont czasowy oceniana była na podstawie kwestionariusza FACIT-F składającego się dwóch oraz EQ-5D-5L. W celu zestawienia jakościowego posłużono się wynikami uzyskanymi od pacjentów w 24 tygodniu leczenia zarówno w badaniu MURANO jak i RESONATE, były to jedyne dane dotyczące możliwości porównania.

Zarówno w przypadku VEN + RTX, jak i IBR nie stwierdzono istotnych statystycznie zmian w jakości życia mierzonej kwestionariuszem EORTC-QLQ-C30 względem wartości wyjściowych po zastosowaniu leczenia.

Nie stwierdzono istotnych statystycznie różnic pomiędzy VEN + RTX a BEND + RTX w zakresie częstości raportowania AE, w tym związanych z leczeniem, także ryzyko zaprzestania terapii oraz redukcji dawki z powodu AE było porównywalne. W grupie VEN + RTX obserwowano istotnie statystycznie wyższy odsetek pacjentów doświadczających AE stopnia 3 i 4 niż w grupie BEND + RTX, tym niemniej ryzyko wystąpienia SAE, w tym związanych z leczeniem, było porównywalne. Stosowanie VEN + RTX w porównaniu z BEND + RTX wiązało się z istotnie statystycznie niższym ryzykiem zgonu ogółem.

Wytyczne kliniczne (AHS 2019, ESMO 2020, BSH 2018, NCCN 2020, PTOK 2020) jednoznacznie wskazują na możliwość zastosowania wenetoklaksu z rytuksymabem w grupie chorych na oporną/nawrotową PBL po co najmniej jednej linii leczenia, przez okres do 24 miesięcy.

Problem ekonomiczny



Główne argumenty decyzji

[REDAKTOWANE]

2. Dowody naukowe wskazują na skuteczność wenetoklaksu we wnioskowanym wskazaniu.

[REDAKTOWANE]

4. Pięć z odnalezionych rekomendacji refundacyjnych jest pozytywna, a jedna rekomendacja pozytywna z ograniczeniami. W rekomendacjach pozytywnych zwraca się głównie uwagę na możliwość zastosowania wenetoklaksu u pacjentów z nawrotową lub oporną przewlekłą białaczką limfocytową, którzy zostali poddani już co najmniej jedną terapią. Podkreśla się również możliwość zastosowania terapii wenetoklaksem w skojarzeniu z rytuksymabem.

5. Wszystkie odnalezione wytyczne kliniczne, z wyłączeniem jednej z 2012 r. z okresu sprzed rejestracji wenetoklaksu, zgodnie zalecają stosowanie wenetoklaksu z rytuksymabem w drugiej i kolejnej linii leczenia.

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 uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OT.4331.49.2020 „Wniosek o objęcie refundacją leku Venclxyto (wenetoklaks) w ramach programu lekowego: leczenie chorych na przewlekłą białaczkę limfocytową wenetoklaksem w skojarzeniu z rytuksymabem (ICD-10 C91.1)”, data ukończenia: 27.01.2021 r.

Inne wykorzystane źródła danych, oprócz wyżej wskazanych:

1. Opinie eksperta i przedstawiciela pacjentów przedstawione w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

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



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 13/2021 z dnia 8 lutego 2021 roku
w sprawie oceny leku Cabometyx (cabozantinibum) w ramach
programu lekowego „Leczenie raka nerki (ICD 10 C64)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktów leczniczych:

- *Cabometyx (cabozantinibum), 30 tabletek powlekanych 20 mg, EAN 03582186003947*
- *Cabometyx (cabozantinibum), 30 tabletek powlekanych 40 mg, EAN 03582186003954*
- *Cabometyx (cabozantinibum), 30 tabletek powlekanych 60 mg, EAN 03582186003961,*

w ramach programu lekowego „Leczenie raka nerki (ICD 10 C64)”, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie ich bezpłatnie, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.

Rada Przejrzystości zgłasza uwagę do propozycji instrumentu dzielenia ryzyka, za niezbędne uważa

[Redacted content]



Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Rak nerki, czyli rak nerkowokomórkowy jest nowotworem złośliwym wywodzącym się w większości przypadków z nabłonka cewek krętych bliższych, a bardzo rzadko z innych struktur nerki. Histologicznie około 80% guzów to rak jasnokomórkowy. Rak nerkowokomórkowy stanowi 2-3% nowotworów złośliwych. Jego największą częstość odnotowuje się w Europie Zachodniej i w Stanach Zjednoczonych. Wśród chorych dominują mężczyźni, a szczyt zachorowań obserwuje się między 60. a 70. rokiem życia.

Według Krajowego Rejestru Nowotworów (KRN) w 2017 roku w Polsce odnotowano 5 232 nowych zachorowań (3 144 u mężczyzn, 2 088 u kobiet) i 2 464 zgonów (odpowiednio, 1 525 i 939) spowodowanych RCC.

Dowody naukowe

Nie odnaleziono badań RCT mających na celu wykazanie skuteczności ocenianej technologii w porównaniu z placebo lub leczeniem wspomagającym nie będącym aktywnym leczeniem, w związku z czym analizę oparto na porównaniach pośrednich danych z dwóch badań klinicznych przez wspólny komparator ewerolimus - badanie METEOR (kabozantynib vs ewerolimus) oraz badanie RECORD-1 (ewerolimus vs placebo). Zastosowanie kabozantynibu w ramach badania METEOR w porównaniu z ewerolimusem wiązało się ze znamiennej redukcją ryzyka zarówno zgonu — o 30%, jak i progresji — o 42%. Kabozantynib pozwolił na uzyskanie korzyści klinicznych u 87% chorych z odsetkiem obiektywnych odpowiedzi na poziomie 24%, a tylko niecałe 10% chorych nie odnosiło żadnej korzyści z zastosowania tego leku.

Do opracowania włączono dodatkowo 2 opracowania wtórne (Edwards 2018; Amzal 2017), których głównym celem była ocena skuteczności klinicznej kabozantynibu, BSC, a także komparatorów: sorafenibu, aksytynibu, ewerolimusu i niwolumabu u osób z RCC, które wcześniej były leczone. W obu zidentyfikowanych opracowaniach wtórnych uwzględniono badania włączone do niniejszej analizy, tj. METEOR (kabozantynib vs ewerolimus) oraz RECORD-1 (ewerolimus/BSC vs placebo/BSC). Wykazano, że kabozantynib charakteryzuje się dłuższym PFS niż ewerolimus, obie terapie są skuteczniejsze niż placebo. Kabozantynib wiąże się z dłuższym czasem przeżycia całkowitego w porównaniu z ewerolimusem. We wnioskach zauważono, że kabozantynib może być najbardziej skutecznym lekiem pod względem wpływu na PFS i OS. Kolejnym lekiem pod względem skuteczności jest niwolumab. Wszystkie terapie opóźniają postęp choroby i wydłużają przeżycie w porównaniu z brakiem leczenia aktywnego - placebo, chociaż wykazano niejednorodność wyników.

Klinicznie istotne działania niepożądane kabozantynibu dotyczyły przede wszystkim występowania biegunek, o częstości i nasileniu wyraźnie większych niż

w przypadku przyjmowania innych TKI. Pomimo częstszego występowania działań niepożądanych w ramieniu otrzymującym kabozantynib, jakość życia chorych leczonych tym lekiem nie różniła się istotnie w odniesieniu do ewerolimusu. Dodatkowo, czas do istotnego pogorszenia jakości życia chorych był istotnie dłuższy w przypadku kabozantynibu.

W odniesieniu do analizowanego wniosku opublikowane w 2020 zalecenia PTOK wskazują, że leczenie trzeciej linii powinno być rozważane u chorych na uogólnionego raka jasnokomórkowego nerki w dobrym stanie ogólnym, bez przeciwwskazań do leczenia systemowego (III, A), po sekwencyjnym leczeniu inhibitorem kinazy tyrozynowej i niwolumabem powinni otrzymać w leczeniu trzeciej linii kabozantynib (I, B).

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

Problem ekonomiczny

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych i cena progowa



Główne argumenty decyzji

Głównym argumentem Rady, przemawiającym za pozytywną opinią w zakresie objęcia refundacją leku kabozantynib, jest jego skuteczność kliniczna i konieczność zapewnienia pacjentom z rakiem nerki dostępu do III linii terapii.

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 uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OT.4331.47.2020 „Wniosek o objęcie refundacją leku Cabometyx (kabozantynib) w ramach programu lekowego: leczenie raka nerki (ICD-10 C64)”, data ukończenia: 27 stycznia 2021 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy Ipsen Pharma S.A.S.

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Ipsen Pharma S.A.S. 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: Ipsen Pharma S.A.S.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości nr 27/2021 z dnia 8 lutego 2021 roku o projekcie programu „Program profilaktyki raka piersi mieszkanek Gminy Kalisz Pomorski na lata 2021-2023”

Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki raka piersi mieszkanek Gminy Kalisz Pomorski na lata 2021-2023”.

Uzasadnienie

Przedmiotem opinii jest projekt PPZ gminy Kalisz Pomorski z zakresu profilaktyki nowotworu piersi na lata 2021-2023. Populację docelową opiniowanego projektu programu stanowią kobiety zamieszkujące na terenie gminy Kalisz Pomorski w wieku: 18-39 lat, 40-49 lat, oraz 50-69 lat. W ramach programu przewidziano działania o charakterze edukacyjnym, USG piersi oraz badanie mammograficzne. Koszt całkowity programu to 61 500 zł, jednak wnioskodawca nie odnosi się we wniosku poza wyceną poszczególnych badań w ogóle do kosztu przeprowadzonych działań edukacyjnych, a dodatkowo nie odnosi się do szczegółów zaplanowanych działań edukacyjnych wskazując jedynie na cel prowadzonych działań. W żadnym wskazanym celu nie wskazano wartości docelowej do jakiej wnioskodawca będzie dążył.

W części poświęconej problemowi zdrowotnemu w sposób zdawkowy przedstawione są informacje z zakresu nowotworu piersi, odnosząc się do czynników ryzyka zachorowania oraz wskazując na rosnącą liczbę rozpoznań.

Wnioskodawca nie przedstawił wykazu piśmiennictwa, na podstawie którego przygotowano treść programu zdrowotnego.

Wnioskodawca przedstawił w sposób zdawkowy sytuację epidemiologiczną korespondującą z wybranym problemem zdrowotnym. Autorzy odwołują się głównie do danych ogólnopolskich oraz regionalnych dotyczących zachorowalności oraz umieralności. Należy zaznaczyć, że prezentowane dane dotyczą okresu sprzed 11 lat. W treści wskazano, że nowotwory piersi są dużym problemem w krajach rozwiniętych, a narastającym w krajach rozwijających się. Odnośnie danych regionalnych wnioskodawca wskazał, że na terenie woj. zachodniopomorskiego rocznie odnotowuje się ok. 600 przypadków nowotworu piersi. W projekcie nie odniesiono się do map potrzeb zdrowotnych.



Obecnie w Polsce ze środków publicznych finansowany jest Populacyjny Program Wczesnego Wykrywania Raka Piersi, w ramach którego realizowane są badania mammograficzne co 2 lata u kobiet w wieku między 50-69 r.ż. W ramach diagnostyki pogłębionej wykonywane jest także USG piersi.

Warto dodać, że z finansowanego przez NFZ populacyjnego programu badań przesiewowych w kierunku raka piersi dla kobiet w wieku 50-69 lat skorzystało łącznie (stan na 01.01.2021 r.) 42,48% kwalifikujących się mieszkanek gminy Kalisz Pomorski.

W punkcie dot. kosztów omawianego programu wskazano, że badania dla ww. grupy wiekowej będą bezpłatne i realizowane w ramach programu ogólnopolskiego. Niejasny pozostaje zatem cel umieszczenia w PPZ badań dla populacji, która objęta jest programem ogólnopolskim.

W kryteriach wyłączenia wskazano „rozpoznane nosicielstwo genów BRCA1/BRCA2”. Zgodnie z rekomendacjami klinicznymi jak i dowodami naukowymi to właśnie obciążenie genetyczne jest jednym z czynników ryzyka zachorowania na raka piersi i w związku z powyższym wydaje się, że z badań przesiewowych wyłączone będą kobiety ze zwiększonym ryzykiem występowania raka piersi, które to właśnie powinny być nim objęte.

Populacja docelowa populacyjnego programu przesiewowego (50-69 lat) i interwał między turami badania (2 lata) jest wzorcowym rozwiązaniem, natomiast wdrażanie skryningu mammograficznego w innych grupach wiekowych (40-49 lat) może prowadzić do zjawiska nadrozpoznawalności („overdiagnosis”).

Autorzy programu przewidzieli badanie USG piersi dla kobiet od 18 do 39 r.ż. Należy podkreślić, że obecnie nie odnajduje się wystarczających dowodów naukowych, które w sposób jednoznaczny mogłyby stwierdzić zasadność stosowania ultrasonografii jako dodatkowo stosowanej metody w przesiewowej diagnostyce raka piersi u kobiet z gęsto utkaną tkanką piersiową.

W projekcie w sposób zdawkowy przedstawiono informacje nt. warunków dotyczących personelu, wyposażenia i warunków lokalowych. Również ocena jakości świadczeń w projekcie programu nie została zaplanowana.

W opracowaniu brak jest również prawidłowego zaplanowania wskaźników ewaluacyjnych przez co kompleksowa ocena efektywności podjętych działań będzie niemożliwa.

Eksperti kliniczni uważają za zasadne prowadzenie w kraju działań z zakresu profilaktyki raka piersi, jako główny argument wysuwając fakt wysokiej zachorowalności oraz umieralności kobiet w Polsce z powodu raka piersi.

Niemniej jednak, eksperci zauważają, że rola jednostek samorządów terytorialnych powinna się skupiać na prowadzeniu przez nich działań edukacyjnych dotyczących profilaktyki raka piersi oraz promujących uczestnictwo w Populacyjnym Programie Wczesnego Wykrywania Raka Piersi.

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 uwzględnieniem raportu nr: OT.441.148.2020 „Program profilaktyki raka piersi mieszkank Gminy Kalisz Pomorski na lata 2021-2023”, data ukończenia: luty 2021 r. oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy profilaktyki raka piersi – wspólne podstawy oceny” z czerwca 2015 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 14/2021 z dnia 8 lutego 2021 roku

w sprawie oceny leku Ozempic (semaglutidum) we wskazaniu: cukrzyca typu 2, u pacjentów stosujących co najmniej dwa doustne leki hipoglikemizujące lub insulinę bazową w skojarzeniu z co najmniej jednym doustnym lekiem hipoglikemizującym, z HbA1c \geq 8%, z otyłością definiowaną jako BMI \geq 30 kg/m² oraz z bardzo wysokim ryzykiem sercowo-naczyniowym zdefiniowanym jako: potwierdzona choroba sercowo-naczyniowa lub uszkodzenie innych narządów objawiające się poprzez: białkomocz lub przerost lewej komory, lub retinopatię, lub obecność 2 lub więcej głównych czynników ryzyka spośród wymienionych poniżej: wiek \geq 55 lat dla mężczyzn, \geq 60 lat dla kobiet, dyslipidemia, nadciśnienie tętnicze, palenie tytoniu

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktów leczniczych:

- *Ozempic (semaglutidum), roztwór do wstrzykiwań we wstrzykiwaczu, 0,25 mg, 1, wstrzykiwacz 1,5 ml + 4 igły NovoFine Plus, kod EAN: 05909991389901,*
- *Ozempic (semaglutidum), roztwór do wstrzykiwań we wstrzykiwaczu, 0,5 mg, 1, wstrzykiwacz 1,5 ml + 4 igły NovoFine Plus, kod EAN: 05909991389918,*
- *Ozempic (semaglutidum), roztwór do wstrzykiwań we wstrzykiwaczu, 1 mg, 1, wstrzykiwacz 3 ml + 4 igły NovoFine Plus, kod EAN: 05909991389956,*

we wskazaniu: cukrzyca typu 2, u pacjentów stosujących co najmniej dwa doustne leki hipoglikemizujące lub insulinę bazową w skojarzeniu z co najmniej jednym doustnym lekiem hipoglikemizującym, z HbA1c \geq 8%, z otyłością definiowaną jako BMI \geq 30 kg/m² oraz z bardzo wysokim ryzykiem sercowo-naczyniowym zdefiniowanym jako: potwierdzona choroba sercowo-naczyniowa lub uszkodzenie innych narządów objawiające się poprzez: białkomocz lub przerost lewej komory, lub retinopatię, lub obecność 2 lub więcej głównych czynników ryzyka spośród wymienionych poniżej: wiek \geq 55 lat dla mężczyzn, \geq 60 lat dla kobiet, dyslipidemia, nadciśnienie tętnicze, palenie tytoniu, jako leków dostępnych w aptece na receptę, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie ich za odpłatnością 30%, pod warunkiem zbliżenia kosztów



miesięcznej terapii do wysokości porównywalnej z kosztem leczenia flozynami (inhibitorami SGLT-2).

Rada Przejrzystości uważa za stosowne zaproponowanie przez wnioskodawcę instrumentu dzielenia ryzyka typu „volume price agreement” ograniczającego wpływ finansowania technologii na budżet.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Cukrzyca jest powszechną chorobą cywilizacyjną, zwiększającą kilkakrotnie ryzyko zgonu z powodu chorób serca i naczyń. Stosowane od dziesięcioleci leki przeciwcukrzycowe w znikomym stopniu zmniejszają to ryzyko. Semaglutyd agonista receptora GLP-1 zmniejsza stężenie glukozy we krwi w sposób zależny od stężenia glukozy poprzez pobudzenie wydzielania insuliny i zmniejszenie wydzielania glukagonu, gdy stężenie glukozy we krwi jest duże, zmniejszając jednocześnie ryzyko sercowo-naczyniowe.

Obecnie produkt leczniczy Ozempic jest finansowany ze środków publicznych w leczeniu chorych na cukrzycę typu 2 przed włączeniem insuliny, u chorych leczonych co najmniej dwoma doustnymi lekami hipoglikemizującymi od co najmniej 6 miesięcy, z HbA1c $\geq 8\%$, z otyłością definiowaną jako BMI ≥ 35 kg/m² oraz bardzo wysokim ryzykiem sercowo-naczyniowym. Wnioskowane wskazanie stanowi więc rozszerzenie aktualnego wskazania refundacyjnego semaglutylu o pacjentów z BMI w przedziale 30–35 kg/m² leczonych ≥ 2 OADs oraz o pacjentów z BMI ≥ 30 kg/m² leczonych insuliną w skojarzeniu z ≥ 1 OAD.

Dowody naukowe

W badaniu SUSTAIN 6 semaglutyd istotnie statystycznie zmniejszył ryzyko zdarzeń sercowo-naczyniowych w stosunku do placebo (złożony punkt końcowy, obejmujący: pierwszy zgon z przyczyn sercowo-naczyniowych, niezakończony zgonem zawał serca lub udar niezakończony zgonem mniejszy o 26%; HR = 0,74 95%CI (0,58, 0,95). Wyniki metaanalizy sieciowej Kanter 2019 wskazują, że stosowanie semaglutylu w dawkach 0,5 mg i 1 mg związane było ze statystycznie istotną większą redukcją HbA1c, stężenia glukozy na czczo (FPG) i redukcją masy ciała niż stosowanie inhibitorów SGLT-2 u pacjentów z cukrzycą typu 2. Także odsetek pacjentów uzyskujący wartość HbA1c < 7% był znamienne statystycznie większy w grupach chorych stosujących semaglutyd 0,5 mg i 1 mg niż w przypadku pacjentów stosujących inhibitory SGLT-2.

Problem ekonomiczny

Technologia

Wpływ na budżet płatnika ze znacznym stopniem niepewności. Będzie on naturalnie ograniczony przez coraz to częstsze stosowanie flozyn.

Główne argumenty decyzji

- *Większa redukcja masy ciała w porównaniu z komparatorami.*
- *Potwierdzony wpływ na zmniejszenie częstości występowania zdarzeń sercowo-naczyniowych.*

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 uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OT.4330.18.2020 „Wniosek o objęcie refundacją leku Ozempic (semaglutyd) we wskazaniu: cukrzyca typu 2, u pacjentów stosujących co najmniej dwa doustne leki hipoglikemizujące lub insulinę bazową w skojarzeniu z co najmniej jednym doustnym lekiem hipoglikemizującym, z HbA1c \geq 8%, z otyłością definiowaną jako BMI \geq 30 kg/m² oraz z bardzo wysokim ryzykiem sercowo naczyniowym zdefiniowanym jako: potwierdzona choroba sercowo-naczyniowa lub uszkodzenie innych narządów objawiające się poprzez: białkomocz lub przerost lewej komory, lub retinopatię, lub obecność 2 lub więcej głównych czynników ryzyka spośród wymienionych poniżej: wiek \geq 55 lat dla mężczyzn, \geq 60 lat dla kobiet, dyslipidemia, nadciśnienie tętnicze, palenie tytoniu”, data ukończenia: 28 stycznia 2021 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Novo Nordisk 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: Novo Nordisk Pharma Sp. z o.o.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 15/2021 z dnia 8 lutego 2021 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację produktu
lecniczego Leukine (sargramostim)

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację produktu leczniczego Leukine (sargramostim), fiołki á 250 mcg we wskazaniu: autoimmunologiczna proteinoza pęcherzyków płucnych (APAP) po nieskutecznym płukaniu płuc (WLL) lub przeciwwskazań do jego zastosowania.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Proteinoza pęcherzyków płucnych (ang. pulmonary alveolar proteinosis. PAP) jest rzadką chorobą płuc polegającą na gromadzeniu się w pęcherzykach płucnych surfaktantu, upośledzającego wymianę gazową i prowadzącego u większości chorych do stopniowego pogorszenia stanu zdrowia. Przeżywalność 10-letnia wynosi około 70%.

Leukine nie posiada pozwolenia na dopuszczenie do obrotu na terenie Polski, a wnioskowane wskazanie nie zawiera się we wskazaniu rejestracyjnym. Leukine był przedmiotem oceny Agencji w sierpniu 2020 roku we wskazaniu: autoimmunologiczna proteinoza pęcherzyków płucnych (APAP), a Rada Przejrzystości uznała wówczas za zasadne jego finansowanie. Prezes Agencji nie rekomendował jednak finansowania leku.

Stosowanie sargramostymu rekomendowane jest w UpToDate 2020, ale nie wymieniane w innych stanowiskach towarzystw naukowych. Konsultantka krajowa w dziedzinie chorób płuc uznaje jego stosowanie za zasadne.

Dowody naukowe

Dowody naukowe pochodzą z pojedynczej próby klinicznej prowadzonej na małej populacji chorych o nieco odmiennej charakterystyce klinicznej. W badaniu uzyskano jednak istotne różnice na korzyść sargramostymu w porównaniu z placebo między innymi dla wyniku zmodyfikowanej skali duszności i przewidywanej DLco.



Problem ekonomiczny

Nie odnaleziono żadnych rekomendacji refundacyjnych dotyczących przedmiotowej technologii, populacja docelowa nie została dokładnie określona, jednak na podstawie dokumentacji można wnioskować, że problem dotyczy pojedynczej chorej. Koszt 24-tygodniowej terapii jest umiarkowanie wysoki jednak wpływ terapii 1 pacjenta na budżet płatnika publicznego będzie bardzo mały.

Główne argumenty decyzji

Proteinoza pęcherzyków płucnych jest chorobą bardzo rzadką. Dowody naukowe i opinia konsultanta krajowego wskazują na możliwą skuteczność interwencji. Wpływ terapii na budżet płatnika publicznego będzie bardzo mały.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust. 2 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2020 r., poz. 1398) 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.4311.27.2020 „Leukine (sargramostym) we wskazaniu: autoimmunologiczna proteinoza pęcherzyków płucnych (APAP) po nieskutecznym płukaniu płuc (WLL) lub przeciw wskazań do jego zastosowania”, data ukończenia: 01.02.2021 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 28/2021 z dnia 8 lutego 2021 roku
w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych,
w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych,
leku Lynparza (olaparibum) we wskazaniu: rak gruczołu krokowego
oporny na kastrację (ICD-10: C61)

Rada Przejrzystości uważa za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Lynparza (olaparibum), kapsułki twarde á 50 mg, we wskazaniu: rak gruczołu krokowego oporny na kastrację u pacjenta z mutacją genu BRCA.

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

U pacjenta z rakiem prostaty pierwotnie rozsiałym do kości zastosowano tradycyjną hormonoterapię (Flutamid + Eligard) i radioterapię. Następnie z uwagi na oporność na hormonoterapię otrzymał 7 cykli chemioterapii docetakselem. Po stwierdzeniu progresji zastosowano nowy lek hormonalny - enzalutamid. Pomimo niego stwierdzono kolejną progresję. Następnie w ramach RDTLu pacjent był leczony nieskutecznie 5 cyklami cabazytaxelu. W międzyczasie u pacjenta stwierdzono mutację BRCA2 co oznacza możliwą wrażliwość nowotworu na inhibitory PARP.

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Olaparib (Inhibitor PARP), bywa skuteczny w rozsiewie raka stercza u pacjentów z mutacją BRCA2. Leczenie takie nie jest aktualnie refundowane przez NFZ.

W RCT III fazy PROfound oceniano olaparyb względem enzalutamidu lub abirateronu (nowych leków hormonalnych) u chorych z przerzutowym, opornym na kastrację rakiem prostaty. Do jednej kohorty włączano chorych z mutacjami w genach BRCA1, BRCA2 lub ATM a do drugiej z mutacjami w innych genach.

W kohorcie z mutacjami BRCA1 i BRCA2 wykazano statystycznie znamienne przewagę olaparybu nad lekiem hormonalnym. Mediana okresu wolnego od progresji (PFS) w grupie olaparybu wyniosła 9,8 miesiąca, zaś w ramieniu komparatora 3,0 miesiące. Leczenie olaparybem wiązało się z 37% redukcją ryzyka zgonu z jakiegokolwiek przyczyny (OS) w stosunku do terapii lekami



hormonalnymi ($HR=0,63$; $95\%CI=0,42$ do $0,95$). Mediana OS wyniosła odpowiednio 20,1 i 14,4 miesiąca. W publikacji Hussain 2020 przedstawiono wyniki dla OS u chorych z mutacją w genie BRCA2. Były one zbliżone do omówionych powyżej, gdyż HR wyniósł 0,59 ($95\%CI=0,37$ do $0,95$). Odsetek pacjentów z odpowiedzią na leczenie stanowił 44% w grupie olaparybu i 0% w ramieniu kontrolnym.

Bezpieczeństwo stosowania

W badaniu PROfound zdarzenia niepożądane (AE) wystąpiły u 96%, w grupie olaparybu oraz u 88%, w kontrolnej. Do najczęściej obserwowanych AE wśród stosujących olaparyb należały anemia (50%), nudności (43%) i zmęczenie (42%). AE stopnia ≥ 3 odnotowano u 52% (olaparyb) oraz 40% (kontrola). Najczęstsza była anemia (23%).

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Na etapie rejestracji EMA pozytywnie oceniła stosunek korzyści do ryzyka terapii lekiem Lynparza dorosłych pacjentów z przerzutowym, opornym na kastrację rakiem stercza oraz mutacją dziedziczną bądź somatyczną w genie BRCA1 lub BRCA2, u których po wcześniej zastosowanym leczeniu nowym lekiem hormonalnym nastąpiła progresja choroby.

Konkurencyjność cenowa

Według wniosku załączonego do zlecenia Ministerstwa Zdrowia koszt 3 cykli terapii olaparybem (Lynparza) będzie istotnie niższy niż koszt wyliczony przez analityków Agencji na kwotę 66 692 zł. na podstawie obwieszczenia Ministerstwa Zdrowia z dn. 21.12.2020 r.

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

Ze względu na brak danych dotyczący liczby pacjentów z rakiem prostaty opornym na kastrację z jednocześnie występującą mutacją BRCA nie jest możliwe oszacowanie liczby pacjentów, którzy kwalifikowaliby się do zastosowania wnioskowanej technologii.

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 ten przepis, aktualne wytyczne kliniczne, historię leczenia pacjenta oraz bieżący stan finansowania terapii, należy stwierdzić, że brak technologii medycznej alternatywnej do zaproponowanej.

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 uwzględnieniem opracowania nr: OT.412.1.2021 „Lynparza (olaparyb) we wskazaniu: rak gruczołu krokowego oporny na kastrację (ICD-10: C61)”, data ukończenia: 03.02.2021 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 29/2021 z dnia 8 lutego 2021 roku
w sprawie zasadności wprowadzenia zmian w programie lekowym
B.4 „Leczenie zaawansowanego raka jelita grubego
(ICD-10 C18 – C20)”

Rada Przejrzystości uważa za zasadne wprowadzenie zmian w programie lekowym B.4 „Leczenie zaawansowanego raka jelita grubego (ICD-10 C18 – C20)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Proponowana zmiana w programie lekowym B.4 dotyczy punktu IV programu tj. „Leczenie pierwszej linii chorych na zaawansowanego raka jelita grubego z wykorzystaniem substancji czynnej panitumumab w skojarzeniu z chemioterapią według schematu FOLFOX”, w którym proponuje się usunięcie podpunktu 12 z kryteriów kwalifikacji tj. usunięcie wymogu niestosowania wcześniej chemioterapii uzupełniającej z oksaliplatyną. Usunięcie powyższego kryterium spowoduje ujednoczenie zapisów dla panitumumabu z zaakceptowanym – zgodnie z informacją z MZ - projektem programu dotyczącym stosowania produktu cetuksymab w skojarzeniu ze schematem FOLFOX w rozpatrywanej grupie chorych, zgodnie z którym cetuksymab + FOLFOX będzie mógł być stosowany bez względu na wcześniejszą terapię oksaliplatyną.

Dowody naukowe

Wg wytycznych NICE 2017 w pierwszej linii terapii biologicznej zaleca się cetuksymab lub panitumumab w skojarzeniu z FOLFIRI lub FOLFOX (u pacjentów wcześniej nie leczonych EGFR i z mutacją typu dzikiego w genie RAS). Podobne zalecenia zostały opublikowane przez NCCN w 2020 i 2021 r jak również AHS w 2018 r. Wytyczne te wskazują, że w I linii leczenia przerzutowego raka jelita grubego zaleca się m.in. zastosowanie cetuksymabu lub panitumumabu. W przypadku wytycznych polskich zaleca się stosowanie panitumumabu w skojarzeniu ze schematem FOLFOX, a cetuksymabu ze schematem FOLFIRI. Większość wytycznych zaleca jednak stosowanie leków anty-EGFR w dowolnym skojarzeniu FOLFIRI lub FOLFOX. Większość wytycznych nie odnosi



się do zasadności stosowania leków anty-EGFR w zależności od zastosowania lub nie wcześniejszej terapii adjuwantowej z zastosowaniem oksaliplatyny.

Jedynie wytyczne NCCN 2020 wskazują, że w przypadku szybkiego nawrotu choroby po zastosowaniu adjuwantowego leczenia CAPOX lub FOLFOX w I linii leczenia zaawansowanego raka jelita grubego lub odbytnicy, należy zastosować cetuksymab lub panitumumab w skojarzeniu z FOLFIRI. Schematy FOLFOX oraz FOLFIRI w skojarzeniu z lekami anty-EGFR zalecane są w przypadku późnego nawrotu choroby >12 miesięcy od adjuwantowego zastosowania schematu FOLFOX lub CAPOX (lub u pacjentów poddanych wcześniej terapii 5-Fluorouracylem (5-FU)/leukoworyną (LV) lub kapecytabiną, lub u pacjentów nie poddanych wcześniejszej chemioterapii). W związku z tym zasadnym jest zgodnie z rekomendacją jednego z ekspertów, aby u chorych otrzymujących wcześniej chemioterapię uzupełniającą z oksaliplatyną schemat FOLFOX w skojarzeniu z cetuksymabem lub panitumumabem mógł być stosowany wyłącznie w przypadku udokumentowanych przeciwwskazań do podania schematu FOLFIRI i gdy czas od zakończenia leczenia uzupełniającego do nawrotu jest dłuższy niż 12 miesięcy.

Problem ekonomiczny

Proponowana zmiana zapisu programu lekowego nie wpłynie na zmianę kosztów terapii wynikającą ze zmian w liczbie pacjentów kwalifikujących się do programu lekowego (przy założeniu, że pacjenci stosujących oksaliplatynę w ramach terapii adjuwantowej zostali uwzględnieni w programie w ramach pozytywnej decyzji refundacyjnej dla cetuksymabu w skojarzeniu z FOLFOX. Ewentualne zmiany wpływu na budżet płatnika będące konsekwencją wprowadzenia proponowanej zmiany w programie, mogą być efektem zmiany udziałów w rynku poszczególnych terapii skojarzonych oraz różnic w kosztach analizowanych terapii z zastosowaniem cetyksymabu i panitumumabu.

Przeprowadzone na podstawie danych NFZ oszacowania wskazują, iż

Główne argumenty decyzji

W charakterystykach panitumumabu i cetuksymabu nie odniesiono się do wcześniejszego stosowania adjuwantowego z zastosowaniem oksaliplatyny.

Dotychczas taka grupa pacjentów nie mogła otrzymywać leczenia w programie lekowym z wykorzystaniem chemioterapii FOLFOX. W praktyce całość tej populacji znajdowała się w grupie leczonych chemioterapią FOLFIRI (z cetuksimabem lub od 1.2021 także panitumumabem). Aby rozszerzenie leczenia o FOLFOX z cetuksimabem nie wpływało na populację chorych dla obu leków, konieczne jest usunięcie przedmiotowego zapisu z programu

panitumumabem lub jego zmiana obejmująca zapisy dla leczenia panitumumabem i cetuksimabem.

U chorych otrzymujących wcześniej chemioterapię uzupełniającą z oksaliplatyną schemat FOLFOX zgodnie z opinią eksperta i wytycznymi NCCN 2020 może być stosowany wyłącznie w przypadku gdy czas od zakończenia leczenia uzupełniającego do nawrotu jest dłuższy niż 12 miesięcy.

Uwaga Rady

Taki sam zapis powinien dotyczyć wszystkich zapisów w programie dotyczących panitumumabu i cetuksymabu. Lekarz leczący powinien sobie zdawać sprawę, że w niektórych sytuacjach klinicznych korzystniejsze może być łączenie ich w schemacie FOLFIRI, a innych w FOLFOX.

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 uwzględnieniem opracowania nr: OT.4220.1.2021 „Opracowanie dotyczące oceny zasadności wprowadzenia zmian w dotychczasowym opisie programu lekowego: B.4 »Leczenie zaawansowanego raka jelita grubego (ICD-10 C18 – C20)«, data ukończenia 5 lutego 2021 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone kolorem czarnym stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców Amgen Biotechnologia Sp. z o.o., Merck Europe B.V.

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Amgen Biotechnologia Sp. z o.o., Merck Europe B.V. o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

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

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

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Amgen Biotechnologia Sp. z o.o., Merck Europe B.V.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 30/2021 z dnia 8 lutego 2021 roku

w sprawie zasadności wprowadzenia zmian w zapisach programu polityki zdrowotnej Ministra Zdrowia „Program badań przesiewowych noworodków w Rzeczypospolitej Polskiej na lata 2019-2022”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje zmiany w programie polityki zdrowotnej Ministra Zdrowia „Program badań przesiewowych noworodków w Rzeczypospolitej Polskiej na lata 2019-2022”, pod warunkiem zapewnienia pacjentom zidentyfikowanym w programie odpowiedniej terapii, przy jednoczesnej kontroli wzrostu wydatków płatnika publicznego.

Uzasadnienie

Przedmiotem opinii Rady był projekt zmian w zapisach programu polityki zdrowotnej dotyczącego badań przesiewowych noworodków. Projekt jest zmienioną wersją poprzednio ocenianego projektu (ocenionego negatywnie) Zmiany w proponowanej wersji projektu odnoszą się do rozszerzenia panelu badań przesiewowych noworodków o badania w kierunku rdzeniowego zaniku mięśni (SMA). W zmienionej wersji programu uwzględniono praktycznie wszystkie uwagi zawarte w negatywnej opinii nr 97/2020. Oceniana zmiana w programie ma zostać wdrożona od roku 2021 w 10 województwach, a od roku 2022 na terenie całej Polski. Stopniowe wdrażanie na terenie całego kraju badań przesiewowych wynika ze względów organizacyjnych. Realizatorem programu będzie Instytut Matki i Dziecka.

Problem zdrowotny

Rdzeniowy zanik mięśni jest chorobą genetycznie uwarunkowaną, w przebiegu której dochodzi do obumierania motoneuronów rdzenia kręgowego, co w konsekwencji prowadzi do osłabienia i zaniku mięśni. Cechą SMA jest bardzo duża zmienność przebiegu klinicznego – od formy letalnej po postać dorosłą, o średniej przeżycia zbliżoną do populacji ogólnej. Choroba związana jest z mutacjami genu SMN1.

Na dzień 1 stycznia 2020 roku w Polskim Rejestrze SMA figurowało ponad 720 osób. Zgodnie z informacjami z laboratoriów genetycznych w Polsce, liczba rozpoznawanych przypadków SMA wynosi 40-45 rocznie. Około 30-35 z nich ma najcięższą, niemowlęcą postać choroby. Ocenia się, że mniej więcej jedna



na 35 osób w Polsce jest nosicielem mutacji genu SMN1, wywołującej SMA. Chorobę rozpoznaje się w którymś momencie życia u jednego na 5-8 tysięcy urodzonych dzieci w Polsce, z czego w ok. 80% przypadków w niemowlęctwie lub wczesnym dzieciństwie.

Projekt programu

Projekt programu wpisuje się w priorytet: „poprawa jakości skuteczności opieki okołoporodowej oraz opieki zdrowotnej nad matką, noworodkiem i dzieckiem do lat 3”, należący do priorytetów zdrowotnych wymienionych w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia.

Głównym założeniem programu jest obniżenie umieralności noworodków, niemowląt i dzieci z powodu chorób wrodzonych oraz zapobieganie ciężkiemu i trwałemu upośledzeniu fizycznemu i intelektualnemu, wynikającemu z tych chorób. W treści projektu uzupełniono cele szczegółowe o elementy związane z badaniem przesiewowym w kierunku SMA. Między innymi wskazano, że celem programu jest wczesne rozpoznanie i wdrożenie leczenia chorób wrodzonych objętych badaniem przesiewowym przez prowadzenie badań przesiewowych w kierunku SMA, skrócenie czasu od urodzenia dziecka do uzyskania pozytywnego wyniku genetycznego badania w kierunku SMA i rozpoczęcia leczenia w kierunku SMA, jak również opracowanie i upowszechnienie rekomendacji dla postępowania diagnostyczno-leczniczego dla rdzeniowego zaniku mięśni. W związku z faktem, że kluczowe dla skuteczności leczenia SMA jest jak najszybsze jego włączenie proponowane cele są właściwe, są także zgodne z wytycznymi klinicznymi i opiniami ekspertów.

W programie uwzględniono mierniki efektywności w tym bezpośrednio związane z badaniem przesiewowym w kierunku SMA w postaci „czasu (liczba dni) od urodzenia dziecka do diagnozy (data wydania wyniku testu genetycznego), przed wprowadzeniem badań przesiewowych oraz po ich wprowadzeniu. Monitorowanie czasu niezbędnego do postawienia właściwej diagnozy jest kluczowe z punktu widzenia jak najwcześniejszego włączenia leczenia. Populacją docelową programu są wszystkie dzieci urodzone w Polsce.

Wytyczne wskazują, że badanie przesiewowe w kierunku SMA jest zalecane (OTFR 2020, Glascock 2018, EFNS 2011). Niemniej rekomendacja UK NSC 2018, ze względu na brak badań wskazujących na skuteczność leczenia nusinersenem w populacji dzieci bez objawów choroby, nie zaleca wprowadzenia krajowego programu badań przesiewowych w kierunku rdzeniowego zaniku mięśni. Od wydania rekomendacji UK NSC 2018 pojawiły się nowe badania, które wskazują, że leczenie przedobjawowe może poprawiać rokowanie u dzieci z genetycznie potwierdzonym SMA (Vill 2019, NURTURE, Glascock 2018). Wszyscy eksperci kliniczni, którzy nadesłali opinie, podkreślają konieczność jak najszybszego wdrożenia badań przesiewowych w kierunku SMA.

W programie wskazano opis prowadzenia badań przesiewowych w kierunku SMA. W sposób szczegółowy odniesiono się do specyfikacji wykorzystywanych testów. Zaproponowano badanie przy wykorzystaniu testu RT-PCR, a następnie potwierdzenie wyniku badania testem MLPA. Po wykonaniu badań przesiewowych (RT-PCR i MLPA) i uzyskaniu wyniku pozytywnego w obu testach nastąpi skierowanie do ośrodka prowadzącego terapię SMA, gdzie nastąpi weryfikacja wyniku badania (pobranie próbki krwi). Sposób prowadzenia jest zgodny z rekomendacjami.

W ramach monitorowania i ewaluacji programu będzie prowadzona między innymi ocena liczby przeprowadzonych poszczególnych badań oraz ich koszt, liczby zakupionych testów i odczynników niezbędnych do przeprowadzenia badań, liczby noworodków, u których wykryto daną chorobę, liczby odmów wykonania badania, liczby zorganizowanych/przeprowadzonych szkoleń, liczby przeprowadzonych badań przesiewowych w porównaniu do liczby urodzeń z uwzględnieniem liczby odmów wykonania badania, liczby wykrytych chorób w danym roku kalendarzowym. Ponadto będzie przeprowadzona analiza różnic wieku postawienia diagnozy w okresie sprzed i po wprowadzeniu SMA do przesiewu.

Budżet programu

Wnioskodawca oszacował koszt jednostkowy wykonania badania laboratoryjnego w kierunku rdzeniowego zaniku mięśni na 10,83 zł w 2021 r. oraz 11,15 zł w 2022 r. Oszacowano również koszty testów i odczynników (13,86 zł – 2021 r. oraz 14,28 zł – 2022 r.). Koszt badań w kierunku SMA w 2022 roku przy przyjętym koszcie jednostkowym (25,43 zł) oraz liczbie planowanych badań (274 tys.) powinien wynosić 6,97 mln zł a nie 7,68 mln zł. Zgodnie z informacjami wnioskodawcy w związku z brakiem polskich danych dotyczących leczenia nusinersenem, nie jest możliwe przeprowadzenie pełnej analizy efektywności kosztowej i oszacowanie wydatków, które zostaną obniżone dzięki wczesnemu wykryciu rdzeniowego zaniku mięśni.

Zgodnie z analizą przeprowadzoną przez AOTMiT włączenie dzieci z wykrytym SMA przyczyni się do poniesienia wydatków związanych z kosztem leku oraz jego podania w wysokości ok. 41 mln zł w 1 roku trwania PPZ oraz ok. 100 mln zł w 2 roku trwania PPZ. Jednakże wydaje się, że ewentualny wzrost kosztów prowadzenia programu lekowego B102 będzie wynikał z wcześniejszego włączenia pacjenta do leczenia.

Uwagi Rady

Rada zwraca uwagę, iż główny problem jaki związany jest z programem przesiewowym to problem zapewnienia odpowiedniej terapii zwiększonej liczbie pacjentów z pozytywnym rozpoznaniem SMA i możliwego dużego wzrostu kosztów po stronie płatnika publicznego. W związku z tym, Rada uważa

za niezbędne wprowadzenie do programu leczenia chorych z SMA odpowiednich mechanizmów dzielenia ryzyka.

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 uwzględnieniem raportu nr: OT.430.2.2021 „Opracowanie dotyczące oceny zasadności wprowadzenia zmian w zapisach programu polityki zdrowotnej pn. »Program badań przesiewowych noworodków w Rzeczypospolitej Polskiej na lata 2019-2022«, data ukończenia: 05.02.2021 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 31/2021 z dnia 8 lutego 2021 roku
o projekcie programu „Program profilaktyki raka szyjki macicy
mieszkanek Gminy Kalisz Pomorski na lata 2021-2023”

Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki raka szyjki macicy mieszkanek Gminy Kalisz Pomorski na lata 2021-2023”.

Uzasadnienie

Przedmiotem opinii jest projekt PPZ gminy Kalisz Pomorski z zakresu profilaktyki raka szyjki macicy na lata 2021-2023.

Opiniowany projekt wpisuje się w priorytet dotyczący „zmniejszenie zachorowalności i przedwczesnej umieralności z powodu nowotworów złośliwych”, należący do priorytetów zdrowotnych wymienionych w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dn. 27 lutego 2018 r. (Dz.U. 2018 poz. 469).

Populację docelową opiniowanego projektu programu stanowią kobiety zamieszkujące na terenie gminy Kalisz Pomorski w wieku: 18-39 lat. Autorzy programu szacują, że w każdym roku trwania programu przebadanych zostanie około 200 kobiet. Pięćdziesiąt kobiet będzie miało wykonane USG dopochwowe wraz z cytologią. U około 100 kobiet zostanie wykonane jedynie USG dopochwowe, a u ok. 50 kobiet jedynie cytologia. Dane dotyczące liczebności zostały zweryfikowane i na podstawie danych zamieszczonych na stronie internetowej GUS, populacja kobiet w wieku 18-69 lat w 2019 r. na terenie Kalisza Pomorskiego wynosiła 2 736 osób. W opisie dotyczącym populacji wnioskodawca nie wskazuje w jaki sposób kobiety będą kwalifikowane do poszczególnych grup. Wątpliwość budzi fakt zakwalifikowania kobiet w wieku 25-59 do interwencji realizowanych w PPZ.

Należy podkreślić, że kobiety ww. grupie wiekowej kwalifikują się do programu „Program profilaktyki raka szyjki macicy”. Dodatkowo w punkcie dot. kosztów wskazano, że badania dla ww. grupy wiekowej będą bezpłatne i realizowane w ramach programu ogólnopolskiego. Niejasny pozostaje zatem cel umieszczenia w PPZ badań dla populacji, która objęta jest programem ogólnopolskim.



W ramach Programu profilaktyki raka szyjki macicy wykonuje się badania:

- co 36 miesięcy u kobiet w wieku od 25 do 59 lat (przy określaniu wieku należy wziąć pod uwagę rok urodzenia);
- co 12 miesięcy u kobiet w wieku od 25 do 59 lat (przy określaniu wieku należy wziąć pod uwagę rok urodzenia) obciążonych czynnikami ryzyka (zakażonych wirusem HIV, przyjmujących leki immunosupresyjne, zakażonych HPV - typem wysokiego ryzyka).

Odnalezione rekomendacje wskazują, że przesiewowe badania cytologiczne należy rozpocząć u kobiet w 25 roku życia i powtarzać je co 3 lata (ACS 2020 - The American Cancer Society Guidelines for the Prevention and Early Detection of Cervical Cancer). Natomiast wytyczne USPSTF 2018 (United States Preventive Service Task Force) wskazują, że przesiewowe badania cytologiczne należy rozpocząć u kobiet w 21 roku życia i powtarzać je co 3 lata. Wytyczne ACP (American College of Physicians) z 2015 roku (które uzyskały poparcie dwóch innych amerykańskich towarzystw naukowych: ACOG - American College of Obstetricians and Gynecologists oraz ASCP - American Society for Clinical Pathology) podkreślają, że nie należy prowadzić badań przesiewowych w kierunku raka szyjki macicy u kobiet przed 21. rokiem życia oraz wykonywać ich częściej niż co 3 lata. Ww. rekomendacje zaznaczają, że badania przesiewowe należy zakończyć u kobiet po ukończeniu 65 lat, jeśli 3 kolejne badania cytologiczne lub 2 badania cytologiczne w połączeniu z testami w kierunku HPV w ciągu poprzednich 10 lat dały wynik ujemny, a ostatnie badanie wykonano w ciągu ostatnich 5 lat (ACP 2015). Również USPSTF (2018) nie zaleca badań przesiewowych w kierunku raka szyjki macicy u kobiet w wieku >65 lat, które miały wcześniejsze prawidłowe wyniki i nie należą do grupy obciążonej wysokim ryzykiem wystąpienia raka szyjki macicy.

Zgodnie z opiniami ekspertów klinicznych:

- Propagowanie działań cytologicznych w środowiskach lokalnych niesie za sobą wymierną korzyść.
- Obniżenie śmiertelności poprzez wcześniejsze wykrywanie (a co za tym idzie większy odsetek wyleczeń) stanowi korzyść z punktu widzenia zdrowia publicznego, jak i NFZ.
- Działania edukacyjne powinny być prowadzone w sposób systematyczny i długotrwały, dzięki czemu możliwe będzie osiągnięcie pozytywnych efektów odległych.
- Eksperci uznają zgodnie, że bardzo ważną kwestią, która nie może być pomijana w tego typu PZ jest prawidłowe monitorowanie (odsetek kobiet,

które zgłosiły się na badania profilaktyczne, liczba wykonanych cytologii w zestawieniu z odsetkiem wykrytych dysplazji).

W odniesieniu do opiniowanego projektu zidentyfikowano następujące uwagi:

- *Epidemiologia – opisano w sposób zdawkowy, nie odniesiono się do map potrzeb zdrowotnych.*
- *Cel główny – sformułowany w sposób zbyt ogólny.*
- *Cele szczegółowe – cele szczegółowe sformułowano nieprawidłowo.*
- *Mierniki efektywności – jeden wskaźnik nie spełnia funkcji miernika efektywności, a dwa pozostałe nie odnoszą się do celów programu.*
- *Populacja docelowa – wnioskodawca wskazuje grupę która objęta jest badaniami w ramach programu ogólnopolskiego.*
- *Planowane interwencje – wnioskodawca nie odnosi się do szczegółów zaplanowanych działań edukacyjnych. Rekomendacje nie odnoszą się do prowadzenia badania USG.*
- *Warunki realizacji PPZ dotyczące personelu, wyposażenia i warunków lokalowych – opisano w sposób zdawkowy.*
- *Monitorowanie – wnioskodawca nie zaplanował oceny jakości świadczeń.*
- *Ewaluacja – kompleksowa ocena efektywności podjętych działań będzie niemożliwa.*

Główne argumenty decyzji

Program powiela istniejący i finansowany przez NFZ program badań cytologicznych, ponadto proponuje badania USG, dla których brak jest dowodów naukowych na skuteczność w skryningu raka szyjki macicy.

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 uwzględnieniem raportu nr: OT.441.147.2020 „Program profilaktyki raka szyjki macicy mieszkanek Gminy Kalisz Pomorski na lata 2021-2023”, data ukończenia: luty 2021 r. oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy z zakresu profilaktyki nowotworów narządów rodnych – wspólne podstawy oceny” z kwietnia 2015 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 32/2021 z dnia 8 lutego 2021 roku

o projekcie programu „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania nowotworów gruczołu krokowego wśród mieszkańców Gminy Kalisz Pomorski na lata 2021-2023”

Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania nowotworów gruczołu krokowego wśród mieszkańców Gminy Kalisz Pomorski na lata 2021-2023”.

Uzasadnienie

Populację docelową programu mają stanowić mężczyźni w wieku 50-69 lat, zamieszkujący na terenie gminy Kalisz Pomorski. Wnioskodawca wskazuje, że rocznie przebadanych zostanie około 150 mężczyzn, natomiast edukacją objęci zostaną wszyscy mieszkańcy gminy. Wnioskodawca zaplanował interwencje w postaci badania kwalifikacyjnego, badania per rectum oraz oznaczenia markera PSA w surowicy krwi.

Praktycznie wszystkie odnalezione rekomendacje wskazują, że prowadzenie badań przesiewowych w kierunku raka gruczołu krokowego w populacji bezobjawowych mężczyzn nie ma uzasadnienia (PTOK 2013, UK NSC 2016, SEOM 2016, ESMO 2015, 2016, Prescrire 2013, 2012, 2009, Cancer Council Australia i NHMRC 2016, RACGP 2016, CTFPHC 2014, ACP 2013, NZGG 2013, USPSTF 2012, ICSI 2012, ACPM 2008). Skryning w kierunku raka prostaty w oparciu o badanie PSA charakteryzuje się wysokim poziomem nadwykrywalności i przeddiagnozowania. Przegląd systematyczny USPSTF – Fenton 2018 określa ryzyko nadwykrywalności na 20-50%. W świetle wytycznych UK NSC 2016 główne szkody leczenia mężczyzn na podstawie fałszywie pozytywnego wyniku badania PSA nadal przewyższają korzyści. Z kolei RACGP w swoich rekomendacjach z 2016 r. stwierdza, że badanie per rectum nie jest już dłużej rekomendowanym badaniem, ze względu na niewystarczającą czułość w wykrywaniu raka prostaty na wczesnym etapie.

Podkreślenia wymaga ponadto, że badanie poziomu PSA oraz wstępna ocena gruczołu krokowego są świadczeniami gwarantowanymi finansowanymi ze środków publicznych. Są one dostępne w ramach podstawowej opieki zdrowotnej oraz ambulatoryjnej opieki specjalistycznej.



Dodatkowo, raport Agencji poświęcony projektowi ocenianego programu zawiera szereg uwag dotyczących sposobu sformułowania celu głównego, celów szczegółowych i planowanych mierników. W projekcie programu nie wskazano też żadnych szczegółów dotyczących akcji edukacyjnej, nie zaplanowano oceny jakości świadczeń, a w ramach oszacowanych kosztów nie uwzględniono kosztu badania kwalifikacyjnego i badania per rectum, co wskazuje na istotne niedoszacowanie zakładanego kosztu jednostkowego.

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 uwzględnieniem raportu nr: OT.441.149.2020 „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania nowotworów gruczołu krokowego wśród mieszkańców Gminy Kalisz Pomorski na lata 2021-2023”, data ukończenia: luty 2021 r. oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy wczesnego wykrywania raka gruczołu krokowego – wspólne podstawy oceny”, grudzień 2018 r.