



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

BP.401.12.2021.MKZ

**Protokół nr 10/2021
z posiedzenia Rady Przejrzystości
w dniu 8 marca 2020 roku
w formie wideokonferencji**

Piotr Szymański otworzył posiedzenie o godzinie 10:03

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

1. Maciej Karaszewski
2. Dorota Kilańska
3. Adam Maciejczyk
4. Tomasz Młynarski
5. Tomasz Pasiński
6. Tomasz Romańczyk
7. Rafał Suwiński
8. Piotr Szymański – prowadził posiedzenie
9. Artur Zaczynski

Przewodniczący przedstawił porządek obrad:

1. Ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady.
2. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Lenvima (lenvatinibum) w ramach programu lekowego: „Leczenie raka wątrobowokomórkowego (ICD-10 C 22.0)”.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Yescarta (axicabtagene ciloleucel) w ramach programu lekowego: „Leczenie aksykabtagenem cyloleucel chorych na chłoniaki z dużych komórek B (ICD-10 C83, C85)”.
5. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Cystagon (cysteamina) w ramach programu lekowego: „Leczenie wczesnodziecięcej postaci cystynozy nefropatycznej (ICD-10 E 72.0)”.
6. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację sprowadzonego z zagranicy w ramach importu docelowego środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Glycosade (dieta eliminacyjna) we wskazaniu: glikogenoza oraz glikogenoza typu Ia, Ib, III, IV, VI, IX, XI, III-VI-IX.
7. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację sprowadzanych z zagranicy w ramach importu docelowego produktów leczniczych Apocard Retard; Flecaine; Flecaine LP, Flecainid Hexal, Tambocor, Tambocor Mite (flecainidum) we wskazaniu: arytmie nadkomorowe (migotanie przedsionków, trzepotanie przedsionków, częstoskurcz przedsionkowy, przedwczesne pobudzenie przedsionkowe); arytmie komorowe (przedwczesne pobudzenie komorowe, częstoskurcz komorowy).



8. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację sprowadzanych z zagranicy w ramach importu docelowego środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego SOS 10, SOS 15, SOS 20, SOS 25 we wskazaniu: uzupełnienie diety w acydurii propionowej, acydurii glutarowej, acydurii metylomalonowej, hiperamonemii pierwotnej, deficycie LCHAD, deficycie VLCAD.
9. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Perjeta (pertuzumabum) we wskazaniu: rak jelita grubego z amplifikacją ERBB2 w stadium choroby rozsiaanej (ICD-10: C18).
10. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Vidaza (azacitidinum) we wskazaniu: ostra białaczka szpikowa z nadekspresją genu BAALC i trisomią13 – stan po allotransplantacji komórek krwiotwórczych (ICD-10: C92.0).
11. Przygotowanie opinii o projektach programów polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego:
 - 1) „Program wczesnego wykrywania nowotworów jelita grubego wśród mieszkańców Miasta Rzeszowa na lata 2021-2025”,
 - 2) „Program wczesnego wykrywania raka piersi wśród mieszkanki Miasta Rzeszowa na lata 2021-2025”,
 - 3) „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania nadwagi i otyłości wśród dzieci klas III szkół podstawowych prowadzonych przez Gminę Miasto Rzeszów na lata 2021-2025”,
 - 4) „Program polityki zdrowotnej w zakresie profilaktyki zakażeń pneumokokowych dla mieszkańców Gminy Kleszczów po 65 roku życia na lata 2021-2024”.
12. Zakończenie posiedzenia.

Ad 1. Tomasz Romańczyk zgłosił konflikt interesów w zakresie leków Yescarta i Vidaza, w związku z czym podczas głosowania nad pkt. 4 i 10 porządku obrad jego głos liczony będzie jako wstrzymujący. Żaden z pozostałych członków Rady nie zgłosił konfliktu interesów.

Ad 2. Rada jednogłośnie (9 głosów „za”) zatwierdziła zaproponowany porządek obrad.

Ad 3. Analityk Agencji zaprezentował najważniejsze informacje raport w sprawie leku Lenvima (wniosek refundacyjny) w ramach programu lekowego dot. leczenia raka wątrobowokomórkowego, a propozycję stanowiska Rady przedstawił Adam Maciejczyk.

W dyskusji i formułowaniu ostatecznej treści stanowiska głos zabrali: Piotr Szymański, Adam Maciejczyk, Maciej Karaszewski oraz Rafał Suwiński.

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

Ad 4. Analityk Agencji omówił najważniejsze kwestie z raportu w sprawie leku Yescarta (wniosek refundacyjny) w ramach programu lekowego dot. leczenia chłoniaki z dużych komórek B.

W trakcie prezentacji analitycznej na posiedzenie przybyła Barbara Jaworska-Łuczak, która nie zadeklarowała konfliktu interesów.

Propozycję stanowiska Rady przedstawił Rafał Suwiński.

W dyskusji i formułowaniu finalnej wersji stanowiska uczestniczyli: Tomasz Pasierski, Tomasz Romańczyk, Rafał Suwiński oraz Maciej Karaszewski.

W związku z brakiem innych głosów, 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 2 do protokołu).

Ad 5. Analityk Agencji zaprezentował podsumowanie raportu w sprawie leku Cystagon (wniosek refundacyjny) w ramach programu lekowego dot. leczenia wczesnodziecięcej postaci cystynozy nefropatycznej, a propozycję stanowiska Rady przedstawił Artur Zaczyński.

W związku z brakiem głosów w dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 3 do protokołu).

Ad 6. Analityk Agencji streścił raport w sprawie środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Glycosade (import docelowy) we wskazaniu: glikogenoza oraz glikogenoza typu Ia, Ib, III, IV, VI, IX, XI, III-VI-IX, a propozycję stanowiska Rady przedstawił Maciej Karaszewski.

W związku z brakiem głosów w dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 4 do protokołu).

Ad 7. Analityk Agencji podsumował raport dot. produktów leczniczych Apocard Retard; Flecaine; Flecaine LP, Flecainid Hexal, Tambocor, Tambocor Mite (import docelowy) we wskazaniu: arytmie nadkomorowe (migotanie przedsionków, trzepotanie przedsionków, częstoskurcz przedsionkowy, przedwczesne pobudzenie przedsionkowe); arytmie komorowe (przedwczesne pobudzenie komorowe, częstoskurcz komorowy), a propozycję stanowiska Rady przedstawił Tomasz Pasierski.

W dyskusji głos zabrali Tomasz Pasierski oraz Piotr Szymański.

W związku z brakiem innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 5 do protokołu).

Ad 8. Analityk Agencji omówił najważniejsze kwestie z raportu w sprawie środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego SOS 10, SOS 15, SOS 20, SOS 25 (import docelowy) we wskazaniu: uzupełnienie diety w acydurii propionowej, acydurii glutarowej, acydurii metylomalonowej, hiperamonemii pierwotnej, deficycie LCHAD, deficycie VLCAD, a propozycję stanowiska Rady przedstawił Piotr Szymański.

W dyskusji i formułowaniu finalnej wersji stanowiska głos zabrali: Maciej Karaszewski i Piotr Szymański.

W związku z brakiem innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 6 do protokołu).

Ad 9. Analityk Agencji omówił najważniejsze kwestie z raportu w sprawie leku Perjeta (RDTL) we wskazaniu: rak jelita grubego z amplifikacją ERBB2 w stadium choroby rozsiaanej, a propozycję opinii Rady przedstawił Tomasz Romańczyk.

W dyskusji głos zabrali: Piotr Szymański, Tomasz Pasierski, Tomasz Romańczyk oraz Maciej Karaszewski.

W związku z brakiem innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 9 głosami „za”, przy 1 głosie „przeciw”(10 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 7 do protokołu).

Ad 10. Analityk Agencji zaprezentował najważniejsze informacje z raportu dot. leku Vidaza (RDTL) we wskazaniu: ostra białaczka szpikowa z nadekspresją genu BAALC i trisomią13 – stan po allotransplantacji komórek krwiotwórczych.

Propozycję opinii Rady, pod nieobecność osoby wyznaczonej do przygotowania projektu opinii Rady, przedstawił Piotr Szymański.

W związku z brakiem innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 8 głosami „za”, przy 1 głosie wstrzymującym, z uwagi na konflikt interesów (9 osób obecnych, Barbara Jaworska-Łuczak nie brała udziału w głosowaniu ze względu na chwilową nieobecność) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 8 do protokołu).

Ad 11 1) Analityk Agencji omówił program polityki zdrowotnej miasta Rzeszowa z zakresu wykrywania nowotworów jelita grubego.

We wstępnej dyskusji głos zabrali: Tomasz Romańczyk, Tomasz Pasierski, Rafał Suwiński oraz Maciej Karaszewski.

Propozycję opinii Rady przedstawiła Dorota Kilańska.

W formułowaniu końcowej wersji opinii uczestniczyli: Piotr Szymański, Dorota Kilańska oraz Tomasz Romańczyk.

W związku z brakiem innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 9 do protokołu).

2) Analityk Agencji omówił program polityki zdrowotnej miasta Rzeszowa z zakresu wczesnego wykrywania raka piersi.

We wstępnej dyskusji głos zabrali Tomasz Pasierski i Piotr Szymański.

Propozycję opinii Rady przedstawiła Dorota Kilańska.

W dalszej części dyskusji uczestniczyli: Dorota Kilańska, Adam Maciejczyk, Piotr Szymański, Tomasz Pasierski i Maciej Karaszewski.

W związku z brakiem innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 8 głosami „za”, przy 1 głosie „przeciw” (9 osób obecnych, Barbara Jaworska-Łuczak nie brała udziału w głosowaniu ze względu na chwilową nieobecność) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 10 do protokołu).

3) Analityk Agencji omówił program polityki zdrowotnej miasta Rzeszowa z zakresu profilaktyki i wczesnego wykrywania nadwagi i otyłości wśród dzieci klas III szkół podstawowych, a propozycję opinii Rady przedstawił Tomasz Młynarski.

W dyskusji uczestniczyli: Tomasz Pasierski, Piotr Szymański i Tomasz Młynarski.

W związku z brakiem innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 8 głosami „za”, przy 1 głosie „przeciw” (10 osób obecnych, Barbara Jaworska-Łuczak nie brała udziału w głosowaniu) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 11 do protokołu).

4) Analityk Agencji omówił program polityki zdrowotnej gminy Kleszczów z zakresu profilaktyki zakażeń pneumokokowych, a propozycję opinii Rady przedstawił Tomasz Młynarski.

W związku z brakiem głosów w dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 12 do protokołu).

Ad 12. Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 14:09.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 26/2021 z dnia 8 marca 2021 roku

w sprawie oceny leku Lenvima (lenwatynib) w ramach programu lekowego: „Leczenie raka wątrobowokomórkowego (ICD-10 C22.0)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Lenvima (lenwatynib), kapsułki twarde, 4 mg, 30, szt., kod EAN: 05036519003763, w ramach programu lekowego „Leczenie raka wątrobowokomórkowego (ICD-10 C22.0)”, w ramach istniejącej (sorafenib) grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie.

Rada Przejrzystości

Rada zgłasza następujące uwagi do projektu programu lekowego – Rada uważa, że w proponowanym programie lekowym powinno istnieć zastrzeżenie, polegające na ograniczeniu stosowania sorafenibu do populacji pacjentów bez przerzutów pozawątrobowych.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Rak wątrobowokomórkowy (ang. hepatocellular carcinoma, HCC) to nowotwór złośliwy wątroby, wywodzący się z hepatocytów, czyli właściwych komórek wątrobowych. Uważa się, że czynnikiem etiologicznym HCC jest zakażenie wirusem zapalenia wątroby typu B lub C. Pewną rolę mogą również odgrywać inne czynniki o udowodnionym działaniu rakotwórczym: środki chemiczne (aflatoksyny, doustne środki antykoncepcyjne, androgenowe środki anaboliczne, alkohol) i palenie tytoniu. Inne czynniki ryzyka rozwoju HCC to marskość wątroby z innych przyczyn, wrodzone choroby metaboliczne (niedobór $\alpha 1$ –antytrypsyny, hemochromatoza, porfiria późna skórna) i cukrzyca. HCC jest najczęstszym pierwotnym nowotworem złośliwym wątroby u dorosłych (80-85%), szóstym pod względem częstości występowania nowotworem złośliwym (5,7% zachorowań) i trzecią najczęstszą przyczyną zgonu z powodu nowotworów (>1 mln zgonów rocznie) na świecie. Zachorowalność jest ok 3-krotnie większa wśród mężczyzn niż kobiet (14,9 vs 5,5 na 100 000 mężczyzn/rok). Zgodnie z danymi pochodzącymi z raportu Globocan 2018, w 2018 roku chorobowość roczna raka wątroby (kod ICD-10: C.22) w Polsce wynosiła 579 dla mężczyzn i 366



dla kobiet, 3-letnia – 950 dla mężczyzn i 596 dla kobiet, natomiast 5-letnia wynosiła 1106 dla mężczyzn i 707 dla kobiet.

Lenwatinib jest inhibitorem kinazy tyrozynowej, który selektywnie hamuje aktywność kinazy receptorów czynnika wzrostu śródbłonna naczyniowego (ang. vascular endothelial growth factor; VEGF) VEGFR1, 2 oraz 3 oraz innych kinaz tyrozynowych receptorów, uczestniczących w szlakach proangiogennych i onkogennych - dla czynnika wzrostu fibroblastów (ang. fibroblast growth factor; FGF) FGFR1, 2, 3 oraz 4, czy receptory płytkopochodnego czynnika wzrostu (ang. platelet derived growth factor; PDGF) PDGFR α , KIT oraz RET. Lenwatinib wykazał selektywne, bezpośrednie działanie antyproliferacyjne w liniach komórek wątrobowych zależnych od aktywacji sygnalizowania FGFR.

Zgodnie z najnowszymi wytycznymi praktyki klinicznej, dotyczącymi leczenia zaawansowanego raka wątrobowokomórkowego jako leczenie pierwszego rzutu u pacjentów z dobrze zachowaną funkcją wątroby (Child-Pugh A) rekomendowane jest zastosowanie sorafenibu. Należy jednak mieć na uwadze, iż zgodnie z aktualnym Obwieszczeniem Ministra Zdrowia, sorafenib jest refundowany w ramach programu lekowego B.5 wyłącznie u pacjentów z nieobecnością przerzutów poza wątrobą. Sorafenib był jednak oceniany pozytywnie przez Radę i Prezesa Agencji, w ramach RDTL w rozszerzonym wskazaniu, czyli I linii leczenia HCC (BIP: 190/2020).

Dowody naukowe

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Do analizy włączono 1 randomizowane, międzynarodowe badanie REFLECT, oceniające skuteczność i bezpieczeństwo lenwatinibu (LEN), w porównaniu do sorafenibu (SOR), u pacjentów z nieoperacyjnym rakiem wątrobowokomórkowym oraz dotyczące efektywności praktycznej lenwatinibu i opracowania wtórne.

W badaniu REFLECT uzyskano następujące wyniki:

- *przeżycie całkowite (OS): brak istotnych statystycznie różnic pomiędzy LEN i SOR, przy czym analiza subpopulacji pacjentów z wyjściowym poziomem AFP \geq 200 g/ml wykazała istotną statystycznie przewagę LEN;*
- *przeżycie wolne od progresji (PFS) oraz czas do progresji (TTP): LEN był istotnie statystycznie lepszy od SOR;*
- *odsetek obiektywnych odpowiedzi (ORR): LEN był istotnie statystycznie lepszy od SOR;*
- *częściowa odpowiedź (PR), progresja choroby (PD) oraz współczynnik kontroli choroby (DCR): wykazano istotną statystycznie wyższość LEN;*
- *całkowita odpowiedź (CR): zidentyfikowano brak istotnych statystycznie różnic pomiędzy grupami;*

- *stabilizacja choroby (SD): LEN okazał się istotnie statystycznie gorszy od SOR;*
- *trwała stabilizacja choroby (dSD): LEN okazał się istotnie statystycznie lepszy od SOR w ocenie przez niezależny komitet zgodnie z kryteriami RECIST v1.1 (w przypadku oceny przez badacza oraz oceny przez niezależny komitet zgodnie z kryteriami mRECIST wykazano brak istotnych statystycznie różnic między grupami);*
- *jakość życia, w ocenie (za pomocą kwestionariuszy EORTC QLQ-C30 i QLQ-HCC18) m.in. występowania bólu, biegunki i żywienia, wykazała statystycznie pogorszenie wyników, które szybciej narastało w grupie SOR.*

Wszystkie zidentyfikowane badania, oceniające efektywność praktyczną, wykazały korzystny profil efektywności i bezpieczeństwa lenwatynibu, stosowanego w pierwszej linii leczenia zaawansowanego raka wątrobowokomórkowego. Wyniki uzyskane w warunkach rzeczywistej praktyki okazały się zbliżone do tych uzyskanych w badaniu klinicznym, co pozwala wnioskować, iż uzyskane wyniki mogą mieć przełożenie na warunki realnej praktyki lekarskiej.

Analiza bezpieczeństwa

Najczęściej zgłaszanymi zdarzeniami niepożądanymi (występującymi u $\geq 30\%$ pacjentów) było nadciśnienie (44,0%), biegunka (38,1%), zmniejszony apetyt (34,9%), zmęczenie (30,6%) i zmniejszenie masy ciała (30,4%). Najważniejszymi ciężkimi działaniami niepożądanymi było niewydolność wątroby (2,8%), encefalopatia wątrobowa (4,6%), krwawienie z żyłaków przełyku (1,4%), krwotok śródmózgowy (0,6%), tętnicza choroba zakrzepowo-zatorowa (2,0%), w tym zawał mięśnia sercowego (0,8%), zawał mózgu (0,4%) i zdarzenie mózgowo-naczyniowe (0,4%) oraz niewydolność/zaburzenie nerek (1,4%). U pacjentów z rakiem wątrobowokomórkowym częściej występowało zmniejszenie liczby neutrofilii (8,7% pacjentów leczonych lenwatynibem w porównaniu do innych typów guzów aniżeli rak wątrobowokomórkowy (1,4%)), co nie miało związku z infekcją, sepsą lub bakteryjnym zapaleniem otrzewnej. W badaniu REFLECT zdarzenia niepożądane związane z zastosowaniem lenwatynibu występowały istotnie częściej niż w grupie pacjentów leczonych sorafenibem.

Rekomendacje i wytyczne kliniczne

Standardową terapią systemową pierwszego rzutu (w przypadku zaawansowanego raka wątrobowokomórkowego z dobrze zachowaną funkcją wątroby (Child-Pugh A)), wymienianą przez większość wytycznych klinicznych jest sorafenib. Wśród najnowszych wytycznych (NCCN 2020, AHS 2020, ESMO 2018/2019/2020, EASL 2018) jako leczenie pierwszego rzutu obok sorafenibu wymieniony jest również lenwatynib. Wytyczne wskazują na porównywalną skuteczność lenwatynibu, który potencjalnie może być stosowany zamiennie

z sorafenibem. W części wytycznych klinicznych brak jest informacji na temat lenwatinibu, jednakże należy wziąć pod uwagę fakt, iż lenwatinib został zarejestrowany w leczeniu raka wątrobowokomórkowego w 2018 roku.

Rekomendacje refundacyjne dotyczące ocenianej technologii medycznej

Odnaleziono cztery rekomendacje pozytywne (NICE 2019, SMC 2019, AWMSG 2019 oraz G-BA 2019) oraz jedną rekomendację pozytywną warunkowo (CADTH 2019). Produkt Lenvima jest rekomendowany jako alternatywa dla sorafenibu. W rekomendacji CADTH przedstawiono warunek, zgodnie z którym koszt leczenia lenwatinibem nie powinien przekraczać kosztu leczenia sorafenibem.

Problem ekonomiczny

[Redacted]

Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych i cena progowa

W wyniku przeprowadzonej analizy

[Redacted]

Wpływ na budżet płatnika publicznego

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

Główne argumenty decyzji

Głównym argumentem Rady, przemawiającym za pozytywną opinią w zakresie objęcia refundacją leku lenwatinibu jest jego skuteczność kliniczna i obecność w rekomendacjach towarzystw naukowych.

Dostępne dane nie potwierdzają w sposób wystarczający skuteczności sorafenibu u pacjentów z rozsiewem pozawątrobowym.

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.4331.52.2020 „Wniosek o objęcie refundacją leku Lenvima (lenwatynib) w ramach programu lekowego: »Leczenie raka wątrobowokomórkowego (ICD-10 C 22.0)«”. Data ukończenia: 25.02.2021 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy Eisai GmbH.

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Eisai GmbH 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: Eisai GmbH.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 27/2021 z dnia 8 marca 2021 roku

w sprawie oceny leku Yescarta (axicabtagene ciloleucel) w ramach programu lekowego: „Leczenie aksykabtagenem cyloleucel chorych na chłoniaki z dużych komórek B (ICD-10 C83, C85)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Yescarta (axicabtagene ciloleucel), dyspersja do infuzji, 0,4 – 2 x 10⁸ komórek, 68, ml, kod EAN: 05909991438487, w ramach programu lekowego „Leczenie aksykabtagenem cyloleucel chorych na chłoniaki z dużych komórek B (ICD-10 C83, C85)”, w ramach nowej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie.

Rada Przejrzystości

Zdaniem Rady,

Rada zgłasza następujące uwagi do projektu programu lekowego: kryteria kwalifikacji do programu i kryteria wykluczenia z programu powinny precyzować, czy do leczenia lekiem Yescarta mogą być kwalifikowani pacjenci uprzednio leczeni za pomocą terapii anty-CD19.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Pismem z dnia 23.12.2020 r. Minister Zdrowia zlecił przygotowanie analizy weryfikacyjnej AOTMiT, stanowiska Rady Przejrzystości oraz rekomendacji Prezesa AOTMiT na zasadzie art. 35 ust. 1 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia oraz wyrobów medycznych w przedmiocie objęcia refundacją produktu leczniczego:

- Yescarta, Axicabtagene ciloleucel, dyspersja do infuzji, 0,4 – 2 x 10⁸ komórek, 68, ml, kod EAN: 05909991438487,*
- w ramach programu lekowego, we wskazaniu wynikającym ze złożonego wniosku i treści uzgodnionego programu lekowego „Leczenie aksykabtagenem cyloleucel chorych na chłoniaki z dużych komórek B (ICD-10 C83, C85)”.*



Zgodnie z treścią uzgodnionego programu lekowego produkt leczniczy Yescarta ma być stosowany u chorych, którzy:

[REDACTED]

Dowody naukowe

Nie zidentyfikowano badań bezpośrednio porównujących efektywność aksykabtagenu cyloleucel (Yescarta) z komparatorami, czyli terapią standardową, leczeniem tisagenlecleucel i piksantronem.

Analizę wnioskodawcy oparto o wyniki dwóch badań jednoramiennych, dotyczących stosowania aksykabtagenu cyloleucel (ZUMA-1 i Kochenderfer 2017). W odniesieniu do komparatorów oparto się na wynikach dwóch badań jednoramiennych, dotyczących stosowania tisagenlecleucel – (JULIET i A2101J) oraz retrospektywnego badania SCHOLAR-1, dotyczącego stosowania terapii standardowej. Wykorzystano też wyniki dwóch badań, dotyczących stosowania piksantronu. Do analizy efektywności rzeczywistej wnioskodawca włączył 25 badań obserwacyjnych.

Mediana przeżycia całkowitego dla aksykabtagenu cyloleucel w badaniu ZUMA-1 wyniosła 25,8 miesiąca. Dla porównania, mediana przeżycia całkowitego dla tisagenlecleucel w badaniu JULIET wyniosła 11,1 mies., a w badaniu A2101J – 22,2 miesiące. Wśród pacjentów leczonych terapią standardową (badanie SCHOLAR-1) mediana OS wyniosła 6 miesięcy, natomiast dla piksantronu (badanie PIX-301) wyniosła 10,2 miesiąca.

Mediana czasu przeżycia wolnego od progresji choroby dla aksykabtagenu cyloleucel wyniosła 5,9 miesięcy, dla tisagenlecleucel od 2,9 do 5,8 miesiąca (w zależności od badania), a dla piksantronu od 3,5 do 4,2 miesiąca (w zależności od badania).

Odsetek odpowiedzi na leczenie ogółem (ORR) dla okresu obserwacji ≥ 24 miesiące wśród leczonych aksykabtagenem cyloleucel w badaniu ZUMA-1 wyniósł 74%, a w badaniu Kochenderfer 2017 - 68%. Dla porównania, w badaniach dotyczących tisagenlecleucel wyniósł on 52% i 50% odpowiednio dla badań JULIET i A2101J. W przypadku terapii standardowej (SCHOLAR-1) ORR wynosił 26%, natomiast dla piksantronu wyniósł od 27% do 40%, w zależności od badania. Najczęściej raportowane działania niepożądane w badaniu ZUMA 1 dla aksykabtagenu cyloleucel to: zespół uwalniania cytokin (93%), gorączka (87%), neutropenia (86%), anemia (68%), trombocytopenia (62%). Wyniki uzyskane w odnalezionych badaniach, dotyczące bezpieczeństwa

aksykabtagenu cyloleucel w praktyce klinicznej są zbliżone do rezultatów osiągniętych w badaniach klinicznych.

Problem ekonomiczny

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy, stosowanie aksykabtagenu cyloleucel, w miejsce standardowej chemioterapii, jest [REDACTED].

Oszacowany ICUR dla tego porównania wyniósł [REDACTED]. Wartości te znajdują się [REDACTED] progu opłacalności, o którym mowa w ustawie o refundacji. Stosowanie aksykabtagenu cyloleucel w miejsce tisagenlecleucelu jest [REDACTED].

[REDACTED]. Wyniki analizy podstawowej wpływu na budżet wykazały, że objęcie refundacją wnioskowanej technologii spowoduje [REDACTED].

[REDACTED]. W analizie AOTMiT zwrócono zarazem uwagę, że przyjęty przez wnioskodawcę 2-letni horyzont czasowy wydaje się za krótki do przedstawienia możliwych obciążeń budżetu, związanych z refundacją wnioskowanej terapii.

Główne argumenty decyzji

Skuteczność i bezpieczeństwo leku Yescarta (axicabtagene ciloleucel) w omawianym wskazaniu badano jedynie w próbach jednoramiennych. Znacząco ogranicza to możliwość wiarygodnego porównania skuteczności i bezpieczeństwa stosowania tego leku z terapią standardową oraz tisagenlecleucelem i piksantronem. Porównania pośrednie sugerują większą skuteczność stosowania Yescarta w porównaniu do komparatorów, są one jednak obarczone dużą niepewnością. Oszacowany ICUR dla porównania aksykabtagenu cyloleucel w miejsce standardowej chemioterapii znajduje się [REDACTED] progu opłacalności, o którym mowa w ustawie o refundacji.

Z tych powodów Rada [REDACTED].

[REDACTED]. Zdaniem Rady, [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.4331.53.2020 „Wniosek o objęcie refundacją leku Yescarta (axicabtagene ciloleucel) we wskazaniu: w ramach programu lekowego »Leczenie aksykabtagenem cyloleucel chorych na chłoniaki z dużych komórek B (ICD-10 C83, C85)«”. Data ukończenia: 26 lutego 2021.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Gilead Sciences 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: Gilead Sciences Poland Sp. z o.o.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 28/2021 z dnia 8 marca 2021 roku
w sprawie oceny leku Cystagon (cysteamina) w ramach programu
lekowego: „Leczenie wczesnodziecięcej postaci cystynozy
nefropatycznej (ICD-10 E72.0)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Cystagon (cysteamina), kapsułki twarde, 150 mg, 100 kaps., kod EAN: 05909990213689, w ramach programu lekowego „Leczenie wczesnodziecięcej postaci cystynozy nefropatycznej (ICD-10 E72.0)”, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie.

Rada nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Cystynozą to schorzenie lizosomalne, dziedziczone autosomalnie recesywnie. Wyróżnia się kilka odmian choroby: niemowlęca, młodzieńcza i łagodna. Najcięższa postać niemowlęca ujawnia się ok. 3-6 mies. życia.

Cystynozą występuje z częstością ok. 1:200 tys. urodzeń. Chorobowość szacuje się na 0,5/100 tys. i jest zróżnicowana w zależności od kraju. Najczęstszą formą jest cystynozą niemowlęca. W tym okresie można rozpoznać hiperchloremiczną kwasotę metaboliczną (skutek proksymalnej utraty wodorowęglanów), hiponatremię i hipokaliemię, zespół Fanconiego (hiperfosfaturia, glikozuria, aminoaciduria), niewielki cewkowy białkomocz (ze zwiększonym wydalaniem lizozymu i β 2-mikroglobuliny). Zaburzenia te prowadzą do odpornej na leczenie krzywicy i zwapnienia nerek. Typowe objawy pozanerkowe to: uszkodzenie rogówki i światłowstręt oraz obecność złogów cystyny w innych strukturach oka, retinopatia, niedoczynność tarczycy, hipogonadyzm, uszkodzenie trzustki i łagodna cukrzyca, osłabienie siły mięśniowej, powiększenie wątroby, objawy mózdkowe i pozapiramidowe, niedobór wzrostu.

Produkt leczniczy Cystagon podlegał ocenie Agencji dwukrotnie. W 2014 r. we wskazaniu: leczenie pacjentów z wczesnodziecięcą postacią cystynozy nefropatycznej do stosowania w ramach programu lekowego. Rekomendacja Prezesa i Stanowiska Rady Przejrzystości były pozytywne w odniesieniu do objęcia refundacją dwóch prezentacji leku Cystagon w dawkach 50 mg i 150 mg.



Następnie, zgodnie z Obwieszczeniem MZ w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych z dnia 24 czerwca 2014 r., produkt leczniczy Cystagon (2 prezentacje: 50 mg i 150 mg, kaps. twarde) był refundowany ze środków publicznych od 1 lipca 2014 r. w ramach programu lekowego B.61 „Leczenie wczesnodziecięcej postaci cystynozy nefropatycznej (ICD-10: E.72.0)”. Od dnia 1 lipca 2018 r., zgodnie z obowiązującym wówczas Obwieszczeniem MZ w sprawie wykazu leków refundowanych, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, program nie był finansowany ze środków publicznych.

W związku z brakiem możliwości stosowania wnioskowanego produktu w ramach programu lekowego, w 2018 r. do Agencji wpłynął wniosek, dotyczący zasadności finansowania ze środków publicznych produktu leczniczego Cystagon (merkaptamina) we wskazaniu: cystynozą nefropatyczna (ICD-10: E72.0) w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych. Zarówno Opinia Prezesa Agencji, jak i Rady Przejrzystości były pozytywne. Jako uzasadnienie podano skuteczność merkaptaminy we wnioskowanym wskazaniu oraz niezaspokojone potrzeby medyczne pacjentów. W opinii Agencji wskazano, że: (...) tryb wnioskowania o dostępność do technologii lekowej, nie wydaje się być odpowiednim rozwiązaniem systemowym dla wnioskowanej technologii lekowej i należy rozważyć ponowne objęcie finansowaniem merakaptaminy w ramach programu lekowego uwzględniającego populację docelową.

Dowody naukowe

Polskie doświadczenia potwierdzają bardzo dobrą skuteczność Cystagonu u pacjentów pediatrycznych, przede wszystkim w zapobieganiu/ opóźnianiu rozwoju niewydolności nerek oraz umożliwianiu prawidłowego rozwoju fizycznego (obecnie w Polsce są 3 pacjentki pozostające pod opieką ośrodka lubelskiego, otrzymujące Cystagon od okresu wczesnego dzieciństwa, obecnie w wieku 10, 13 i 14 lat, z czego dwie mają prawidłową funkcję nerek i prawidłowe parametry rozwoju fizycznego, zaś trzecia, która rozpoczęła leczenie późno jest w III stadium niewydolności nerek).

W wyniku wyszukiwania systematycznego nie odnaleziono pełnotekstowych randomizowanych badań klinicznych, oceniających skuteczność i bezpieczeństwo cysteaminy we wnioskowanym wskazaniu. Wyniki wielośrodkowego randomizowanego badania klinicznego analizującego wpływ dwóch dawek (1,30 g/m²/dobę i 1,95 g/m²/dobę) chlorowodoru cysteaminy lub fosfocysteaminy na stan zdrowia dzieci z cystynozą nefropatyczną dostępne są jedynie w postaci streszczenia. Ponadto, dostępne są wyniki 9 nierandomizowanych badań klinicznych o różnych protokołach. Nie odnaleziono nowych doniesień naukowych, oceniających skuteczność i bezpieczeństwo cysteaminy w ocenianym wskazaniu ani opublikowanych

przeeglądów systematycznych spełniających kryteria włączenia do analizy. Wnioski płynące z analizy dostępnych badań są zbieżne z wnioskami płynącymi z analizy efektywności klinicznej przeprowadzonej w 2012 roku.

Problem ekonomiczny

Analiza minimalizacji kosztów wykazała, że przy uwzględnieniu zaproponowanej CZN, finansowanie terapii produktem Cystagon jest tańsze niż stosowanie produktu Cystagon w ramach RDTL. Oszczędności po stronie wnioskowanego sposobu finansowania terapii wynikają z podwójnego naliczenia kosztu diagnostyki i monitorowania leczenia w przypadku przyjmowania leku w ramach RDTL w porównaniu z programem.

Terapia produktem Cystagon stosowanym w ramach RDTL nie może stanowić technologii alternatywnej dla produktu Cystagon stosowanego w ramach programu lekowego. Podkreślić należy, iż w przypadku zarówno pozytywnej, jak i negatywnej decyzji administracyjnej MZ w zakresie refundacji omawianego leku, lek nie będzie już dostępny w ramach RDTL. Stąd jako prawidłowy komparator należałoby przyjąć najlepszą terapię wspomagającą (komparator zgodny z proponowanym przez Agencję w analizie klinicznej) oraz ewentualnie jako komparator dodatkowy Cystagon finansowany ze środków własnych pacjentów.

Porównanie z leczeniem zachowawczym i objawowym zostało przeprowadzone w analizie ekonomicznej dostarczonej wraz z wnioskiem w 2013 r. (analizy zaktualizowane w 2012 r.). Analiza kosztów-efektywności została wykonana w dożywotnim horyzoncie czasowym (50-letni horyzont). Należy mieć jednak na uwadze, iż poprzednie analizy dotyczyły dwóch prezentacji leku Cystagon (50 mg i 150 mg). W analizie wykazano wówczas, że uzyskanie dodatkowego roku życia w wyniku zastosowania terapii produktem leczniczym Cystagon w porównaniu z leczeniem wyłącznie zachowawczym i objawowym wiąże się ze wzrostem ICER.

Główne argumenty decyzji

Odnosząc się do otrzymanych danych z rejestru POLtube, NFZ oraz opinii ekspertów klinicznych można stwierdzić, że łączna liczba pacjentów w populacji docelowej w scenariuszu nowym oszacowana w analizie wpływu na budżet wynosząca 10 pacjentów rocznie wydaje się być oszacowaniem wiarygodnym.

Wszyscy pacjenci z analizowanej populacji stosują obecnie Cystagon, który jest refundowany w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych (RDTL).

Analiza wpływu na budżet wykazała, iż objęcie refundacją produktu leczniczego Cystagon w ramach wnioskowanego programu lekowego wpłynie na powstanie oszczędności dla płatnika publicznego.

Jako ograniczenie analizy należy wskazać, iż nie ma możliwości oceny, czy uwzględnione w analizie koszty odzwierciedlają realne koszty ponoszone na diagnostykę i monitorowanie leczenia produktem Cystagon w ramach RDTL.

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.4331.50.2020 „Wniosek o objęcie refundacją leku Cystagon (cysteamina) w ramach programu lekowego »Leczenie wczesnodziecięcej postaci cystynozy nefropatycznej (ICD-10 E 72.0)«”. Data ukończenia: 24 lutego 2021 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 29/2021 z dnia 8 marca 2021 roku

w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Glycosade we wskazaniach: glikogenoza oraz glikogenoza typu Ia, Ib, III, IV, VI, IX, XI, III-VI-IX

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Glycosade, saszetki á 60 g, we wskazaniach: glikogenoza oraz glikogenoza typu Ia, Ib, III, IV, VI, IX, XI, III-VI-IX.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Glikogenozy to choroby genetyczne, wynikające z zaburzeń metabolizmu glikogenu. Dotychczas wyróżniono 12 typów glikogenoz, związanych z mutacjami w genach dla różnych białek, pośrednio bądź bezpośrednio wpływających na syntezę i degradację glikogenu. W obrębie większości typów opisano kilka, a czasami kilkadziesiąt różnych mutacji prowadzących do dysfunkcji danego enzymu, ulokowanych w różnych fragmentach jego genu. Również obraz kliniczny poszczególnych glikogenoz bywa bardzo niejednorodny, wskutek czego w obrębie niektórych typów (np. typu I, III czy IV) wyodrębnia się kilka podtypów choroby. Częstość występowania wszystkich typów glikogenoz w populacji wynosi 1:20-40000 w zależności od typu glikogenozy.

Każdy typ glikogenozy obciążony jest innymi powikłaniami. Większość pacjentów cierpi na ciężkie hipoglikemie i muszą regularnie kontrolować stężenie glukozy we krwi. Dodatkowo większość ma uszkodzoną wątrobę i hepatomegalię. Najczęstszą i najcięższą glikogenozą jest defekt kompleksu glukozy-6-fosfatazy, określany jako typ I GSD.

W typach mięśniowych uszkodzeniu ulegają mięśnie, co wiąże się z problemami z sercem (kardiomiopatia) i bólami nóg (wzrost kinazy kreatynowej). Mogą pojawiać się również hipermoczanemia (podwyższone stężenie kwasu moczowego we krwi), hipermlęczanemia (podwyższone stężenie kwasu mlekowego) oraz problemy z nerkami, kamica nerek, nadciśnienie tętnicze i płucne, dna moczanowa, zapalenie trzustki, neuropatia z bolesnymi



parestezjami i utratą czucia, oraz zespół policystycznych jajników u kobiet. Powyższe powikłania mogą poważnie zagrażać życiu pacjentów.

Celem leczenia GSD I jest utrzymanie normoglikemii i zapobieganie odległym powikłaniom (wątrobowym, nerkowym, zahamowaniu wzrastania). Zalecenia dietetyczne we wszystkich typach glikogenoz eliminują podaż cukru i ograniczają podaż tłuszczu, głównie zwierzęcego. Pacjenci z glikogenozą mają ściśle rozpisaną podaż surowej skrobi kukurydzianej, która zależy od typu glikogenozy i masy ciała.

Glycosade jest wskazana do stosowania u osób z GSD 0, I, III, VI i IX, u których występują okresy hipoglikemii lub mają trudności z utrzymaniem normoglikemii i wymagają diety opartej na długo działającej skrobi.

W 2014 r. Rada Przejrzystości w stanowisku nr 71/2014 z dnia 25 lutego 2014 r. i Prezes Agencji w rekomendacji nr 62/2014 z dnia 25 lutego 2014 r. uznali za zasadne wydawanie zgody na refundację w ramach importu docelowego produktu Glycosade, saszetki á 60 g, we wskazaniu: glikogenoza typu I.

Dowody naukowe

W ramach przeglądu systematycznego odnaleziono badania:

- 1. Correia 2008 - randomizowane, podwójnie zaślepione, pilotażowe badanie typu cross-over, którego celem było porównanie skuteczności nowej modyfikowanej skrobi z obecnie stosowaną terapią skrobią kukurydzianą u pacjentów z GSD typu Ia i Ib. Badanie wykazało lepszą profilaktykę hipoglikemii, spowolnienie tempa wzrostu stężenia glukozy we krwi i spowolnienie tempa spadku poziomu glukozy we krwi w przypadku zastosowania modyfikowanej skrobi Glycosade. Zastosowanie Glycosade może zwiększyć bezpieczeństwo spowalniając spadek glukozy po osiągnięciu 70 mg / dl, co dodatkowo zmniejszy niekorzystny wpływ na pacjenta w przypadku pominięcia dawki skrobi, ponieważ wolniejsze tempo spadku glukozy pozwala na wzrost stężenia mleczanu.*
- 2. Bhattacharya 2007 - randomizowane, podwójnie zaślepione badanie pilotażowe typu cross-over porównujące niegotowaną, zmodyfikowaną skrobię (WMGM20) z niegotowaną skrobią UCCS w grupie pacjentów z GSD Ia, Ib i III. Badanie przerwano u 8 z 21 pacjentów z grupy WMHM20 oraz u 7 z 21 pacjentów w grupie UCCS. Nie stwierdzono istotnej statystycznie różnicy w średniej AUC dla profili glukozy. Nie stwierdzono istotnej statystycznie różnicy dla gradientu wzrostu glukozy. W grupie WMHM20 stwierdzono wolniejszy spadek poziomu glukozy niż w grupie UCCS ($p=0,05$). Nie stwierdzono istotnej statystycznie różnicy w profilu mleczanów ($p=0,17$).*
- 3. Bhattacharya 2015 – podwójnie zaślepione, randomizowane badanie typu cross-over u dorosłych osób z GSD Ia i Ib.*

Badanie wykazało, iż pacjenci przyjmujący 50 g WMHMS w porównaniu z pacjentami stosującymi UCCS mieli lepszy profil glukozy i insuliny po podaniu skrobi. Badanie dostarcza wstępnych danych, iż WMHMS można bezpiecznie wprowadzić do diety pacjentów bez działań niepożądanych.

- 4. Ross 2015 - niezaślepiąca próba „overnight” w celu oceny skuteczności działania skrobi o przedłużonym uwalnianiu u pacjentów z ketotycznymi formami GSD (0, III, VI, IX).*

Badanie wykazało, że zastosowanie skrobi o przedłużonym uwalnianiu pozwala pacjentom z ketotycznymi typami GSD na wydłużenie okresów pomiędzy dawkami skrobi w nocy unikając tym samym podania śródnocnej dawki skrobi, bez negatywnego wpływu na kontrolę metaboliczną.

- 5. Ross 2015a – badanie otwarte, w celu oceny skuteczności i bezpieczeństwa długoterminowego zastosowania w nocy modyfikowanej skrobi kukurydzianej u pacjentów z GSD I.*

Badanie wykazało, że zastosowanie skrobi kukurydzianej o przedłużonym działaniu poprawia jakość życia pacjentów z GSD I dając możliwość pominięcia dawki w nocy przy jednoczesnym zachowaniu kontroli metabolicznej.

- 6. Hijazi 2018 - celem pracy była opisanie doświadczeń 1 ośrodka w leczeniu 2-5 letnich dzieci z glikogenezą typu I z nocnym zastosowaniem modyfikowanej skrobi.*

Problem ekonomiczny

Zgodnie z informacjami przekazanymi przez MZ oraz na podstawie szacunku ekspertów klinicznych, refundacja w omawianych wskazaniach może dotyczyć ok. 100 osób w Polsce. Z uwagi na fakt, że ilość Glycosade wymagana do utrzymania normoglikemii będzie się różnić w zależności od typu GSD, wieku, wagi, poziomu aktywności, indywidualnej odpowiedzi i innych czynników, nie jest możliwe wskazanie dokładnej prognozy wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych.

Główne argumenty decyzji

Zgodnie z ograniczonymi dowodami naukowymi, wytycznymi klinicznymi oraz stanowiskiem ekspertów stosowanie Glycosade w postępowaniu dietetycznym u pacjentów z glikogenezą typu Ia, Ib, III, IV, VI, IX, XI, III-VI-IX jest zasadne. Prognozowana populacja obejmuje ok. 100 osób, tak więc refundacja nie powinna stanowić istotnego obciążenia dla płatnika publicznego. Poprzednie rekomendacje Rady były pozytywne.

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 z późn. zm.) oraz w zw. z art. 39 ust. 3 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2020 r., poz. 357 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności wydawania zgody na refundację nr: OT.4311.18.2020 „Glycosade we wskazaniu: glikogenoza”. Data ukończenia: 03.03.2021 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 30/2021 z dnia 8 marca 2021 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację produktów
lecniczych zawierających substancję czynną flecainidum
we wskazaniach: arytmie nadkomorowe, arytmie komorowe

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację produktów
lecniczych:*

- *Apocard Retard (flecainidum), kapsułki á 150 mg,*
- *Flecaïne (flecainidum), kapsułki á 100 mg,*
- *Flecaïne LP (flecainidum), kapsułki á 150 mg,*
- *Flecainid Hexal (flecainidum), kapsułki á 100 mg,*
- *Tambocor (flecainidum), kapsułki á 100 mg,*
- *Tambocor Mite (flecainidum), kapsułki á 50 mg,*

w ramach importu docelowego, we wskazaniach:

- *arytmie nadkomorowe (migotanie przedsionków, trzepotanie przedsionków, częstoskurcz przedsionkowy, przedwczesne pobudzenie przedsionkowe),*
- *arytmie komorowe (przedwczesne pobudzenie komorowe, częstoskurcz komorowy).*

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Flecainid jest skutecznym lekiem antyarytmicznym, obarczonym jednak bardzo poważnymi działaniami niepożądanymi, takimi jak: pojawienie się nowych lub zaostrzenie arytmii komorowych u 6,8% pacjentów oraz pojawienie się lub pogorszenie zastoinowej niewydolności serca u 3,9%. W badaniu CAST, pomimo swej skuteczności antyarytmicznej w leczeniu komorowych zaburzeń rytmu serca, zwiększał śmiertelność całkowitą u pacjentów z chorobą wieńcową. Rekomendacje towarzystw naukowych wskazują na możliwość/zasadność jego stosowania w szczególnych sytuacjach klinicznych/u starannie wybranych chorych.

Produkt leczniczy Tambocor był oceniany w Agencji w 2013 r. w węższym wskazaniu niż aktualnie oceniane, tj. w napadowym migotaniu przedsionków.



Zarówno Stanowiska Rady Przejrzystości, jak i Rekomendacje Prezesa były pozytywne.

Dowody naukowe

Dane kliniczne potwierdzają skuteczność flekainidu w odniesieniu do zmniejszenia częstości występowania/zapobiegania niektórym nadkomorowym i komorowym zaburzeniom rytmu. Jednocześnie wyniki badania CAST i innych analiz wskazują na istotne ryzyko stosowania leku i możliwy wzrost śmiertelności w przypadku jego stosowania m.in. u pacjentów z chorobą wieńcową, upośledzoną funkcją lewej komory czy strukturalnymi chorobami serca. Brak jest dowodów na bezpieczeństwo takiego leczenia we wskazaniach takich jak: migotanie przedsionków, trzepotanie przedsionków, częstoskurcz przedsionkowy, przedwczesne pobudzenie przedsionkowe.

Stosowanie flekainidu może być rozważone w szczególnych sytuacjach klinicznych, np. w zapobieganiu niektórym arytmii nadkomorowych, w tym np. migotania przedsionków u ciężarnych. Lek nie powinien być co do zasady stosowany u pacjentów z chorobą wieńcową, upośledzoną funkcją lewej komory czy strukturalnymi chorobami serca. W przypadkach niektórych rzadkich kardiomiopatii flekainid stosowany bywa w opornych na inne leczenie komorowych zaburzeniach rytmu, u pacjentów z wszczepialnym kardiowertorem-defibrylatorem.

Problem ekonomiczny

Dotychczas zrefundowano leczenie flekainidem u 230 chorych na łączną sumę 151 966 PLN.

Główne argumenty decyzji

Stosowanie leku, pomimo związanych z nim ryzyk i możliwych działań niepożądanych, znajduje uzasadnienie w starannie wybranych grupach chorych. Na możliwość jego podawania, zazwyczaj jako terapii kolejnego rzutu, wskazują wytyczne międzynarodowych towarzystw naukowych. Lek może być niezbędny w celu zachowanie ciągłości terapii chorych, u których jego stosowanie rozpoczęto za granicą.

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 z późn. zm.) oraz w zw. z art. 39 ust. 3 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2020 r., poz. 357 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności dalszego wydawania zgody na refundację nr: OT.4211.5.2021 (Aneks do opracowania nr: OT.4311.6.2017) „Apocard Retard, Flecaine, Flecaine LP, Flecainid

Hexal, Tambocor, Tambocor Mite (flekainid) we wskazaniach: arytmie nadkomorowe (migotanie przedsionków, trzepotanie przedsionków, częstoskurcz przedsionkowy, przedwczesne pobudzenie przedsionkowe) i arytmie komorowe (przedwczesne pobudzenie komorowe, częstoskurcz komorowy)”. Data ukończenia: 03 marca 2021 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 31/2021 z dnia 8 marca 2021 roku

w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego S.O.S 10, S.O.S 15, S.O.S 20, S.O.S 25 we wskazaniu: uzupełnienie diety w acydurii propionowej, acydurii glutarowej, acydurii metylomalonowej, hiperamonemii pierwotnej, deficycie LCHAD, deficycie VLCAD

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne wydawanie zgód na refundację środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego:

- S.O.S. 10, proszek, saszetki á 21 g,
- S.O.S. 15, proszek, saszetki á 31 g,
- S.O.S. 20, proszek, saszetki á 42 g,
- S.O.S. 25, proszek, saszetki á 52 g,

we wskazaniu: uzupełnienie diety w acydurii propionowej, acydurii glutarowej, acydurii metylomalonowej, hiperamonemii pierwotnej, deficycie LCHAD, deficycie VLCAD.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Acyduria propionowa, jest to organiczna kwasica spowodowana przez niedobór aktywności karboksylazy propionilo-koenzymu A. Enzym ten jest potrzebny podczas przemiany m.in. niektórych aminokwasów i cholesterolu. Choroba charakteryzuje się zagrażającymi życiu epizodami dekompensacji metabolicznej, zaburzeniami neurologicznymi oraz powikłaniem w postaci kardiomiopatii. Acyduria glutarowa typu 1 (ang. glutaric acidemia type-1, GA1) (ICD-10: E71.3), zwana także inaczej niedoborem dehydrogenazy glutarylo-CoA (ang. glutaryl-Coenzyme A dehydrogenase deficiency, GDD) jest zaburzeniem neurometabolicznym dziedziczonym autosomalnie recesywnie. Acyduria glutarowa typu II (ang. glutaric aciduria type 2, glutaric acidemia type 2), nazywana również niedoborem dehydrogenaz acylo-CoA kwasów tłuszczowych (ang. multiple acyl-CoA dehydrogenase deficiency, MAD deficiency, MADD), jest ultrazadkiem zaburzeniem utleniania kwasów tłuszczowych i aminokwasów.



Choroba jest klinicznie heterogenna, od ciężkiej postaci noworodkowej do łagodnej u dzieci i dorosłych.

Acyduria metylomalonowa (ang. methylmalonic aciduria, MMA) (ICD-10: E71.1) jest chorobą dziedziczną w sposób autosomalny recesywny. Należy do grupy wrodzonych wad metabolizmu aminokwasów i skutkuje zwiększonym stężeniem kwasu metylomalonowego we krwi i moczu.

Hiperamonemia jest definiowana jako stężenie amoniaku w osoczu $>50 \mu\text{mol/l}$ ($>100 \mu\text{mol/l}$ u noworodków). Gromadzenie amoniaku w ciele pacjenta jest skutkiem zaburzenia działania cyklu mocznikowego (ang. urea cycle disorders, UCD). Przyczyny mogą być pierwotne (wrodzone) lub wtórne (np. na skutek innych zaburzeń, pośrednio wpływających na cykl mocznikowy). W połączeniu z objawami klinicznymi jest traktowany jako stan nagły.

Deficyt dehydrogenazy 3-hydroksyacylo-koenzymu A długołańcuchowych kwasów tłuszczowych (niedobór LCHAD, ang. long-chain 3-hydroxyacyl-coenzyme A dehydrogenase deficiency, LCHAD deficiency) (ICD-10: E71.3) należy w populacji polskiej do najczęściej ujawniających się klinicznie zaburzeń procesu oksydacji kwasów tłuszczowych. Białko o aktywności 3-hydroksyacylo-CoA długołańcuchowych kwasów tłuszczowych jest częścią białka trójfunkcyjnego MTP, związanego z wewnętrzną błoną mitochondrialną, które katalizuje trzy kolejne reakcje w procesie beta-oksydacji kwasów tłuszczowych.

Deficyt dehydrogenazy acylo-CoA kwasów tłuszczowych o bardzo długim łańcuchu (ang. very long chain fatty acyl-CoA dehydrogenase deficiency, VLCAD deficiency) (ICD-10: E71.3) jest klinicznie podobny do deficytu LCHAD. Również należy do grupy zaburzeń zużytkowania wolnych kwasów tłuszczowych spowodowanych upośledzeniem ich utleniania wewnątrzmitochondrialnego (zaburzenia β -oksydacji kwasów tłuszczowych).

Wszystkie wymienione jednostki chorobowe należą do chorób rzadkich lub ultraradkich.

Stosowany w tych jednostkach środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego (śsspż) S.O.S. nie był dotychczas przedmiotem oceny Agencji, jednak w 2019 roku wydano 4 decyzje dotyczące sprowadzenia z zagranicy środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego S.O.S. Takie samo zastosowanie, jak oceniany śsspż S.O.S. ma preparat dostępny na rynku polskim.

Dowody naukowe

Podstawę leczenia wyżej wymienionych stanów stanowi w przypadkach pilnych zróżnicowane postępowanie awaryjne, mające na celu wyrównanie zaburzeń metabolicznych, m.in. poprzez zmianę składu przyjmowanych substancji odżywczych, a następnie modyfikację diety. Pomimo różnic w zaleceniach, dotyczących postępowania żywieniowego w przypadku dobrego samopoczucia,

podstawowe rekomendacje, dotyczące postępowania w sytuacjach awaryjnych są tożsame – konieczne jest zapewnienie pożywienia wysokoenergetycznego (nawet powyżej normalnego zapotrzebowania energetycznego), co zapobiega katabolizmowi i promuje anabolizm.

Preparat S.O.S ma stanowić element doraźnej interwencji terapeutycznej. Poza pojedynczym otwartym randomizowanym badaniem klinicznym, w którym brali udział dorośli pacjenci z VLCAD oraz opisem serii przypadków brak jest publikowanych doniesień, dotyczących skuteczności interwencji. Odpowiednich informacji nie odnaleziono także na stronach głównych agencji regulacyjnych.

Problem ekonomiczny

Nie odnaleziono rekomendacji innych agencji, dotyczących finansowania ocenianego produktu ze środków publicznych. Zgodnie z aktualnym Obwieszczeniem MZ w analizowanych wskazaniach nie są refundowane żadne śsspż o zbliżonym składzie.

Dokładnie takie samo zastosowanie, jak oceniany śsspż S.O.S., zdaniem jednego z ekspertów, ma dostępny na rynku polskim produkt Fantomalt (proszek), którego opakowanie (puszka 400 g) kosztuje od ok. 30 zł do ok. 45 zł.

W opinii ekspertów klinicznych, liczba pacjentów, u których oceniana technologia byłaby stosowana po objęciu jej refundacją waha się od ok. 40 do ok. 150 osób. Zgodnie ze wskazaniem producenta, środek S.O.S. powinien być stosowany doraźnie w sytuacjach awaryjnych, a w związku z tym nie jest możliwe oszacowanie liczebności populacji, ponieważ nie da się przewidzieć częstotliwości doraźnego stosowania preparatu oraz ilości preparatu, jaka będzie odpowiednia dla indywidualnego pacjenta.

Główne argumenty decyzji

Zdaniem eksperta klinicznego, dokładnie takie samo zastosowanie, jak oceniany śsspż S.O.S. ma preparat dostępny na rynku polskim, którego cena jest istotnie niższa. Nie ma zatem podstaw do sprowadzania z zagranicy innego preparatu, o nieudowodnionej przewadze klinicznej względem dostępnego preparatu.

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 z późn. zm.) oraz w zw. z art. 39 ust. 3 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2020 r., poz. 357 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności wydawania zgody na refundację nr: OT.4311.16.2020 „S.O.S. 10, S.O.S. 15, S.O.S. 20, S.O.S. 25 we wskazaniu: uzupełnienie diety w acyduirii

propionowej, acydurii glutarowej, acydurii metylomalonowej, hiperamonemii pierwotnej, deficycie LCHAD, deficycie VLCAD”. Data ukończenia: 3 marca 2021 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 40/2021 z dnia 8 marca 2021 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Perjeta (pertuzumab) we wskazaniu: rak jelita grubego z amplifikacją ERBB2 w stadium choroby rozsianej (ICD-10: C18)

Rada Przejrzystości uważa za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Perjeta (pertuzumab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, fiołka á 420 mg, we wskazaniu: rak jelita grubego z amplifikacją ERBB2 w stadium choroby rozsianej (ICD-10: C18).

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Zlecenie dotyczy chorego z rakiem jelita grubego z amplifikacją ERBB2, w stadium choroby rozsianej, kwalifikowanego do terapii skojarzonej z trastuzumabem (na którą pacjent otrzymał zgodę), u którego wcześniej zastosowano m.in. następujące leczenie: hemikolektomię lewostronną, appendektomię; adiuwantową chemioterapię (schemat FOFOX4), Cetuximab + FOFIRI (6 serii). W kontrolnym badaniu tomografii komputerowej uwidoczniło się progresję choroby, której nie udało się zahamować poprzez zastosowanie III linii leczenia choroby rozsianej LONSURF.

Produkt leczniczy Perjeta (pertuzumab) jest aktualnie finansowany ze środków publicznych w ramach programu lekowego B.9 „Leczenie raka piersi (ICD-10 C50)”. W leczeniu systemowym pierwszej i dalszych linii u pacjentów z nowotworem jelita grubego nie jest finansowana ze środków publicznych żadna technologia lekowa celowana na receptor ludzkiego naskórkowego czynnika wzrostu (ang. human epidermal growth factor receptor 2, HER2).

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Produkt leczniczy Perjeta jest wskazany do stosowania w skojarzeniu z trastuzumabem i docetakselem u dorosłych pacjentów chorych na HER2-dodatniego raka piersi, z przerzutami lub z nieresekcyjną wznową miejscową, którzy nie byli leczeni wcześniej za pomocą terapii przeciw-HER2 lub chemioterapii choroby przerzutowej.



Dostępne dowody naukowe wskazują na możliwą częściową skuteczność wnioskowanej interwencji. W badaniu II fazy MyPathway oceniano wpływ terapii celowanych u pacjentów z zaawansowanymi opornymi na leczenie guzami litymi (guzy płuc, piersi, okrężnicy i inne) z obecnością zmian molekularnych: w receptorze-2 ludzkiego naskórkowego czynnika wzrostu (HER2), receptorze ludzkiego naskórkowego czynnika wzrostu (EGFR), homolog B1onkogenu wirusowego mięsaka mysiego V-raf (BRAF) lub inhibitorach szlaku Hedgehog. W subpopulacji z amplifikacją /nadekspresją HER2, w kohorcie z rakiem jelita grubego, 38% pacjentów uzyskało obiektywną odpowiedź na leczenie - częściową odpowiedź na leczenie (PR) stwierdzono u 38% pacjentów. U żadnego pacjenta nie stwierdzono jednak całkowitej odpowiedzi na leczenie (CR). Mediana czasu trwania odpowiedzi na leczenie (DOR) wyniosła 11 miesięcy (zakres: od <1 do ponad 16 mies.). W badaniu HERACLES-B oceniano skuteczność i bezpieczeństwo zastosowania pertuzumabu w skojarzeniu z trastuzumabem emtanzyny, u pacjentów z przerzutowym rakiem jelita grubego z amplifikacją HER2. W HERACLES-B obiektywną odpowiedź na leczenie (pierwszorzędowy punkt końcowy badania) stwierdzono u 9,7% pacjentów. Według autorów badania odsetek kontroli choroby po leczeniu pertuzumabem w skojarzeniu z trastuzumabem emtanzyny wyniósł łącznie 77,4%. Mediana czasu przeżycia bez progresji wyniosła 4,1 miesiąca.

Bezpieczeństwo stosowania

W badaniu MyPathway nie odnotowano żadnego przypadku śmiertelnego związanego z leczeniem. W trakcie badania zmarło 44% pacjentów, zgon nastąpił w wyniku progresji choroby u 22 (39%) pacjentów, a przyczyna była nieznana u trzech (5%) pacjentów. Podobnie w nadaniu HERACLES-B związane z leczeniem zdarzenia niepożądane 3. stopnia wystąpiły tylko u dwóch pacjentów. Nie zgłoszono żadnych zdarzeń stopnia 4. lub 5.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Wskazanie, którego dotyczy wniosek nie zawiera się we wskazaniu rejestracyjnym produktu leczniczego Perjeta (pertuzumab). Tym samym dla niniejszego wskazania EMA nie przeprowadziła oceny relacji korzyści do ryzyka.

Konkurencyjność cenowa

Według wniosku załączonego do zlecenia MZ, koszt 3 cykli terapii produktem leczniczym Perjeta (pertuzumab) wynosi: ████████ PLN brutto. Powyższe obliczenia nie uwzględniają kosztów zastosowania trastuzumabu.

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

Ze względu na brak danych, nie jest możliwe oszacowanie liczby pacjentów, u których można zastosować wnioskowaną technologię lekową w ramach RDTL.

Brak jest danych dotyczących liczby pacjentów z rakiem jelita grubego z amplifikacją genu ERBB2, u których terapia pertuzumabem w skojarzeniu z trastuzumabem stanowiłaby IV linię leczenia.

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

W żadnej z odnalezionych wytycznych nie odniesiono się do terapii skojarzonej pertuzumabem z trastuzumabem u pacjentów z rakiem jelita grubego. Biorąc pod uwagę, że w populacji docelowej niniejszej analizy terapia skojarzona pertuzumabem z trastuzumabem stanowiłaby IV linię leczenia, a odnalezione wytyczne nie odnoszą się do postępowania po niepowodzeniu III linii leczenia można stwierdzić, że dla ocenianej technologii lekowej nie ma technologii alternatywnej.

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.), opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych nr: OT.412.9.2021 „Perjeta (pertuzumab) we wskazaniu: rak jelita grubego z amplifikacją ERBB2 w stadium choroby rozianej (ICD-10: C18)”. Data ukończenia: 3 marca 2021 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Roche Registration GmbH 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: Roche Registration GmbH.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 41/2021 z dnia 8 marca 2021 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Vidaza (azacytydyna) we wskazaniu: ostra białaczka szpikowa z nadekspresją genu BAALC i trisomią 13 – stan po allotransplantacji komórek krwiotwórczych (ICD-10: C92.0)

Rada Przejrzystości uważa za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Vidaza (azacytydyna), proszek do sporządzania zawiesiny do wstrzykiwań, fiołka 100 mg, we wskazaniu: ostra białaczka szpikowa z nadekspresją genu BAALC i trisomią 13 – stan po allotransplantacji komórek krwiotwórczych (ICD-10: C92.0)

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Ostra białaczka szpikowa (AML) jest nowotworem złośliwym układu białokrwinkowego. Charakteryzuje się obecnością klonu transformowanych komórek, wywodzących się z wczesnych stadiów mielopoezy. Ostre białaczki szpikowe stanowią około 80% wszystkich ostrych białaczek występujących u dorosłych. Mediana wieku chorych na AML wynosi 67 lat. Wniosek dotyczy pacjentki z rozpoznaniem AML M1 wg FAB, ze złożonym kariotypem, trisomią 13. chromosomu oraz nadekspresją genu BAALC, obecnie: ECOG=1, MRD= 0,35%, leczoną wcześniej m.in. wg protokołu PALG3 Leczenia Białaczek Wieku Starszego >60 r.ż, po allotransplantacji krwiotwórczych komórek macierzystych.

Zastosowanie azacytydyny u chorej z rozpoznaną ostrą białaczką szpikową z trisomią chromosomu 13 i nadekspresją genu BAALC jako leczenia choroby resztkowej po allotransplantacji komórek macierzystych jest, zdaniem konsultant wojewódzkiej z dziedziny hematologii, uzasadnione klinicznie. Jest to wskazanie nieobjęte rejestracją w krajach Unii Europejskiej.

W wytycznych międzynarodowych towarzystw naukowych wskazuje się, że stosowanie azacytydyny może stanowić mniej toksyczną alternatywę dla chemioterapii.



Skuteczność kliniczna i praktyczna

Co najwyżej umiarkowanej jakości dowody naukowe sugerują, że leczenie azacytydyną może być skuteczną strategią zapobiegania lub znacznego opóźnienia nawrotów hematologicznych, przy akceptowalnym profilu bezpieczeństwa terapii. Mała liczebność i niejednorodność grup badanych oraz niejednorodność punktów końcowych ograniczają jednak pewność wnioskowania.

Bezpieczeństwo stosowania

Najczęściej zgłaszanymi działaniami niepożądanymi w czasie leczenia azacytydyną były reakcje hematologiczne (71,4%), w tym trombocytopenia, neutropenia i leukopenia (zazwyczaj stopnia 3.-4.).

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

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

Konkurencyjność cenowa

Koszt 3 miesięcy terapii oszacowany na podstawie limitu finansowania z aktualnego obwieszczenia jest relatywnie niski i wynosi 9 950,85 zł brutto. Koszt zgodny z wnioskiem wynosi [REDAKTOWANO]. Podstawę limitu wyznacza obecnie produkt Azacitidine Accord.

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

Prognozowana wielkość populacji docelowej wynosi 84-112 nowo zdiagnozowanych przypadków w ciągu roku. Koszt finansowania ze środków publicznych ocenianej technologii lekowej w ramach RDTL we wnioskowanej populacji przez 3 miesiące terapii wyniesie [REDAKTOWANO] (w wariantcie cenowym według wniosku dołączonego do zlecenia MZ). W wariantcie cenowym na podstawie limitu finansowania ten koszt wyniesie 0,98 (0,84-1,11) mln zł brutto.

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

Zgodnie z odnalezionymi wytycznymi, u pacjentów z oporną/nawrotową AML, w ramach stosowania terapii hipometylującej, wskazane są azacytydyna oraz decytabina. Na tej podstawie uznano, że komparatorem dla wnioskowanej terapii może być stosowanie decytabiny, która wg uzyskanych informacji, nie jest dostępna w Europie.

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.), opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych nr: OT.412.10.2021 „Vidaza (azacytydyna) we wskazaniu ostrobiałaczka szpikowa z nadekspresją genu BAALC i trisomią 13 – stan po allotransplantacji komórek krwiotwórczych (ICD-10: C92.0)”. Data ukończenia: 03.03.2021 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Celgene 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: Celgene Europe B.V.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 42/2021 z dnia 8 marca 2021 roku
o projekcie programu „Program wczesnego wykrywania nowotworów
jelita grubego wśród mieszkańców Miasta Rzeszowa na lata
2021-2025”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program wczesnego wykrywania nowotworów jelita grubego wśród mieszkańców Miasta Rzeszowa na lata 2021-2025”, pod warunkiem uwzględnienia uwag wskazanych w raporcie analitycznym oraz niniejszej opinii, w tym pod warunkiem ujednoczenia kryteriów kwalifikacji, oceny ośrodków i ich wyposażenia zgodnie z programem MZ.

Uzasadnienie

Celem programu jest zwiększenie skuteczności wczesnego wykrywania polipów gruczolakowatych oraz nowotworów jelita grubego wśród mieszkańców Miasta Rzeszowa, poprzez działania informacyjno-edukacyjne oraz wykonywanie badań przesiewowych w populacji co najmniej 600 osób w wieku 50-75 lat niezależnie od wywiadu rodzinnego lub w wieku 25-49 lat z obciążonym wywiadem rodzinnym. Program prowadzony będzie w latach 2021 - 2025.

W programie przewidziano następujące interwencje: akcja informacyjno - edukacyjna, konsultacja lekarska realizowana przez lekarza specjalistę przy współudziale pielęgniarki, badanie przesiewowe – kolonoskopia diagnostyczna.

Interwencje edukacyjne, prowadzone przez przeszkolony personel pielęgniarski (ze specjalizacją w pielęgniarstwie chirurgicznym lub onkologicznym), będą polegać na nauczaniu pacjentów podczas konsultacji lekarskich oraz przy zapisach do programu. Program uzupełnia program badań przesiewowych dla wczesnego wykrywania raka jelita grubego, realizowany przez podmiot leczniczy w obszarze wskazanym we wniosku.

Przedstawiony program nie budzi zasadniczych zastrzeżeń, niezbędne jest jednak skorygowanie odnotowanych nieprawidłowości, m. in. w ankiecie nie uwzględniono szczegółowych pytań dotyczących występowania raka jelita grubego w rodzinie u przynajmniej jednego krewnego pierwszego stopnia, co stanowi kryterium włączenia do programu.



Zgodność organizacji proponowanego programu z organizacją programów uznawanych za skuteczne

Wyrażając pozytywną opinię o programie Rada zauważa, że przeszkody w realizacji badań przesiewowych nowotworów jelita grubego w grupach wrażliwych obejmują ograniczoną wiedzę, brak motywacji, niższe poczucie własnej skuteczności, nieodpowiedni transport i brak dostępu do testów przesiewowych [Seeff i in., 2004].

W edukacji udowodniono skuteczność modelu teorii zachowań zdrowotnych (zintegrowany model behawioralny) dla zmiany/poprawy zachowań co do realizacji badań przesiewowych w kierunku raka jelita grubego (Teoria Rozsądnego Działania (TRA), SCT, HBM i TPB)) [Serra i wsp., 2017; Lau i in, 2020]. Rada zwraca uwagę, że materiały edukacyjne powinny być opracowane i przetestowane pilotażowo przy użyciu grup fokusowych i wywiadów poznawczych z pacjentami, aby ustalić, że są: przydatne, zrozumiałe, atrakcyjne i odpowiednie pod względem kulturowym. Obserwacja telefoniczna powinna być uwzględniona jako strategia wzmacniająca dodatkowo informacje co do korzyści interwencji, pomagając w zachęcaniu pacjentów do podjęcia decyzji co do udziału/ukończenia programu [Connie i in., 2019].

Poziom równości dostępu osób spełniających kryteria włączenia do programu

Nie budzi zastrzeżeń.

Uwaga Rady

W celu zachowania odpowiedniej jakości, kryteria programu wymagają ujednolicenia z tożsamym programem badań przesiewowych Ministerstwa Zdrowia, w szczególności w zakresie kontroli jakości wykonywanych procedur. Organizator programu przesiewowego powinien zapewnić jego właściwe raportowanie, w taki sposób, aby uniknąć powielania wykonywania badań w ramach równoległe prowadzonych programów profilaktycznych.

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.431.7.2021.TT „Program wczesnego wykrywania nowotworów jelita grubego wśród mieszkańców Miasta Rzeszowa na lata 2021-2025” realizowany przez: Miasto Rzeszów, Warszawa, marzec 2021 oraz Aneksu „Profilaktyka i wczesne wykrywanie nowotworów jelita grubego – wspólne podstawy oceny”, maj 2015 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 43/2021 z dnia 8 marca 2021 roku

o projekcie programu „Program wczesnego wykrywania raka piersi wśród mieszkanki Miasta Rzeszowa na lata 2021-2025”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program wczesnego wykrywania raka piersi wśród mieszkanki Miasta Rzeszowa na lata 2021-2025”, pod warunkiem uwzględnienia uwag wskazanych w raporcie analitycznym oraz w niniejszej opinii.

Uzasadnienie

Celem programu jest wczesne wykrywanie choroby, a także zwiększenie świadomości zdrowotnej w zakresie profilaktyki raka piersi wśród mieszkanki Rzeszowa. Program zaplanowano na lata 2021-2025. Populację docelową stanowią kobiety w wieku: 40-49 lat (ok. 1 000 kobiet w każdym roku trwania programu), 70+ (ok. 200 kobiet w każdym roku trwania programu) oraz uczennice ostatniej klasy szkoły średniej (ok. 1 000 dziewcząt w danym roczniku). Zaplanowane interwencje to: działania edukacyjne, instruktaż samobadania piersi, badanie mammograficzne, konsultacja lekarska.

Zgodność organizacji proponowanego programu z organizacją programów uznawanych za skuteczne

- W zakresie oceny efektywności kompetencji zdrowotnych należy wykorzystywać wystandaryzowane i opisane naukowo narzędzia, jak Breast Cancer Awareness Measurement [Linsell et al. 2010];*
- W zakresie kompetencji edukacyjnych w środowisku nauczania i wychowania interwencje powinny być realizowane przez pielęgniarki/higienistki szkolne z wykorzystaniem modelu zmiany zachowań „5 A” [Prochaska, 1992];*
- W zakresie metod edukacji modelu L.E.A.R.N.S. i techniki komunikacji „Zamykanie pętli” z wykorzystaniem strategii wywiadu motywacyjnego [Keller i in., 1997; Rollnick i in., 1999; Whitlock i in., 2002];*
- Edukacja winna być prowadzona w oparciu o przygotowane przez interdyscyplinarny zespół, oparte na EBM przewodniki/protokoły i zdiagnozowaną wiedzę grupy docelowej [Wetze 2007].*



Poziom równości dostępu osób spełniających kryteria włączenia do programu

Wśród głównych kryteriów kwalifikacji, poza wiekiem, wskazano uczęszczanie do ostatniej klasy szkoły średniej (w przypadku działań edukacyjnych); zameldowanie na pobyt stały / czasowy lub zamieszkiwanie na terenie miasta Rzeszów oraz wyrażenie pisemnej zgody na udział w programie. Ponadto, do badania mammograficznego kryteriami włączenia, poza wymienionymi powyżej, będzie dodatni wywiad w kierunku raka piersi w rodzinie. Natomiast w przypadku lekarskiej wizyty kontrolnej kryterium włączenia będzie nieprawidłowy wynik badania mammograficznego. Kryteria wyłączenia z programu w części dotyczącej kwalifikacji do badań przesiewowych oraz badania mammograficznego stanowią: wykonywanie mammografii w ciągu ostatnich 12 miesięcy oraz przebywanie pod opieką poradni ginekologicznej i/lub onkologicznej na skutek zmian w obrębie piersi. Do pozostałych części programu wnioskodawca wskazał brak kryteriów wyłączenia.

Realizacja edukacji będzie obejmowała przeprowadzenie minimum 2 wykładów rocznie z wykorzystaniem ulotek oraz plakatów. W programie uwzględniono ewaluację programu, wynikającą ze stanu pandemii, wskazując możliwość edukacji zdalnej. Nauka samobadania piersi prowadzona przez pielęgniarki/położne/higienistki szkolne, będzie odbywać się w małych grupach.

Uwagi Rady

Rada zwraca uwagę na wątpliwości dotyczące zasadności prowadzenia przesiewowych badań mammograficznych w grupie kobiet w wieku 40-49 lat i podkreśla, że w tej populacji uczestniczkom programu należy zapewnić możliwość podjęcia zindywidualizowanej, świadomej decyzji, po udzieleniu informacji dotyczących ograniczeń związanych z wykonywaniem badań mammograficznych w tej grupie wiekowej.

Rada zwraca uwagę na niezasadność nieselektywnego wykonywania mammografii u kobiet po 70, a w szczególności po 75 roku życia i wskazuje na konieczność modyfikacji kryteriów włączenia i wyłączenia z programu także w tym zakresie.

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.431.8.2021 „Program wczesnego wykrywania raka piersi wśród mieszkanki Miasta Rzeszowa na lata 2021-2025” realizowany przez: Miasto Rzeszów, Warszawa, marzec 2021 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

Opinia Rady Przejrzystości nr 44/2021 z dnia 8 marca 2021 roku o projekcie programu „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania nadwagi i otyłości wśród dzieci klas III szkół podstawowych prowadzonych przez Gminę Miasto Rzeszów na lata 2021-2025”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania nadwagi i otyłości wśród dzieci klas III szkół podstawowych prowadzonych przez Gminę Miasto Rzeszów na lata 2021-2025”.

Uzasadnienie

Opiniowany projekt wpisuje się w priorytet „przeciwdziałanie występowaniu otyłości”, wymieniony w rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 27 lutego 2018 roku.

Celem głównym programu jest „zmniejszenie o 5 punktów procentowych częstości występowania nadwagi i otyłości wśród dzieci klas III szkół podstawowych zamieszkałych w mieście Rzeszowie poprzez objęcie kompleksową interwencją edukacyjno-zdrowotną w latach 2021-2025”. Wnioskodawca nie wskazał uzasadnienia dla przyjętej wartości docelowej. Z kolei część spośród celów szczegółowych jest niemierzalna bądź nie zostało podane uzasadnienie przyjętych wartości docelowych.

Populację docelową programu stanowią będą dzieci w wieku 9 lat, uczęszczające do szkół podstawowych na terenie miasta Rzeszów, a ponadto ich rodzice/opiekunowie prawni w zakresie działań informacyjno-edukacyjnych. Liczba dzieci objętych programem w kolejnych latach wyniesie między 2 188 a 2 384. Wskazano ponadto, że szacunkowa liczba dzieci z nadwagą i otyłością to 1 000 (200 w każdym roku trwania programu).

Projekt zakłada badania przesiewowe (BMI wg siatek centylowych, przy czym BMI pomiędzy 90-97 centylem oznaczać będzie nadwagę, a powyżej 97 centyla – otyłość), interwencję multikomponentową (konsultacje dietetyczne – min. 10 godzin kontaktowych, konsultacje psychologiczne – min 8 godzin kontaktowych, konsultacje ze specjalistą aktywności ruchowej – min. 8 godzin kontaktowych), pomiary antropometryczne pół roku i rok po zakończeniu programu (wzrost i masa ciała) oraz ankietę oceniającą zmianę zachowań



żywieniowych i poziom aktywności fizycznej. W ramach edukacji zdrowotnej przewidziano cykl szkoleń/wykładów dla rodziców/opiekunów prawnych z zakresu edukacji żywieniowej oraz aktywności fizycznej (w formie 30 min. wykładów raz na 6 miesięcy), a także wykłady/szkolenia dla dzieci prowadzone przez dietetyków lub higienistki szkolne (raz na 3 miesiące w formie godziny wychowawczej lub zajęć pozalekcyjnych).

Projekt zakłada monitorowanie zgłaszalności do programu, ocenę jakości świadczeń w oparciu o ankiety satysfakcji oraz uwag przekazywanych przez uczestników, jak również coroczną oraz końcową analizę efektywności programu.

Program będzie finansowany z budżetu miasta Rzeszów. Planowane koszty całkowite realizacji programu wynoszą 1 175 000 zł. Wnioskodawca przedstawił koszty jednostkowe poszczególnych interwencji, zastrzegł jednocześnie, że nie obejmują one kosztów pomiarów antropometrycznych uczniów klas III, gdyż te są rutynowo przeprowadzane w ramach bilansów zdrowia dziecka w ramach świadczeń finansowanych przez NFZ.

Odnosząc się do założeń programu wskazać trzeba, że BMI jest uznawane za stosunkowo dobry oraz prosty test diagnostyczny w kierunku wykrywania dziecięcej otyłości oraz otłuszczenia. Na podstawie wyników metaanaliz RCT można wnioskować, że interwencje multikomponentowe, obejmujące terapię behawioralną, komponent żywieniowy i/lub aktywności fizycznej wpływają na redukcję wskaźników związanych z masą ciała w populacji dzieci i młodzieży. W rekomendacjach zaleca się wdrożenie zintensyfikowanych, kompleksowych, multikomponentowych interwencji behawioralnych, mających na celu redukcję masy ciała i wypracowanie odpowiednich nawyków (m.in. żywieniowych i w zakresie aktywności fizycznej), które umożliwią utrzymanie uzyskanych rezultatów. Interwencje te powinny obejmować w sumie minimum 26 godzin kontaktowych, co zostało uwzględnione w ocenianym programie.

W wytycznych podkreśla się, że również działania o charakterze informacyjnym oraz interwencje ukierunkowane na podnoszenie świadomości powinny być realizowane jako część długoterminowej, multikomponentowej interwencji, a nie w formie jednorazowych działań. Działania ukierunkowane na zapobieganie nadmiernemu przyrostowi masy ciała, poprawę diety oraz poziomu aktywności fizycznej u dzieci i młodzieży powinny aktywnie angażować ich rodziców oraz opiekunów. Również w tym zakresie przedstawiony program należy ocenić pozytywnie.

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.431.9.2021 „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania nadwagi i otyłości wśród dzieci klas III szkół podstawowych prowadzonych przez Gminę Miasto Rzeszów na lata 2021-2025” realizowany przez: Miasto Rzeszów, Warszawa, marzec 2021 oraz Raportu nr OT.423.2.2018 „Profilaktyka nadwagi oraz otyłości wśród dzieci i młodzieży w ramach programów polityki zdrowotnej” z kwietnia 2019 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 45/2021 z dnia 8 marca 2021 roku

o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej w zakresie profilaktyki zakażeń pneumokokowych dla mieszkańców Gminy Kleszczów po 65 roku życia na lata 2021-2024”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej w zakresie profilaktyki zakażeń pneumokokowych dla mieszkańców Gminy Kleszczów po 65 roku życia na lata 2021-2024”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

Opiniowany projekt odnosi się do priorytetów „zmniejszenie zachorowalności i przedwczesnej umieralności z powodu przewlekłych chorób układu oddechowego” oraz „zwiększenie skuteczności zapobiegania chorobom zakaźnym i zakażeniom, w tym przeciwdziałanie skutkom nieprawidłowej antybiotykoterapii”, wymienionych w rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 27 lutego 2018 roku.

U osób w wieku powyżej 60 lat obserwuje się wzrost częstości objawowych zakażeń pneumokokowych, ze względu na występujące choroby towarzyszące, a także zjawisko zmniejszania się z wiekiem liczby limfocytów B pamięci oraz niższe poziomy przeciwciał przeciw pneumokokowych. Zakażeniom, zwłaszcza szczepami o podwyższonej oporności na antybiotyki, sprzyjają też częste lub długotrwałe hospitalizacje, zabiegi operacyjne oraz pobyty w ośrodkach opiekuńczych i opiekuńczo-leczniczych. U osób w podeszłym wieku pneumokokowe zapalenie płuc jest najczęstszą przyczyną zgonów z powodu chorób zakaźnych.

Zgodnie z Programem Szczepień Ochronnych na 2021 r. szczepienia przeciwko pneumokokom wskazuje się jako szczepienia zalecane w populacji osób dorosłych m.in. z przewlekłą chorobą serca, przewlekłą chorobą płuc, cukrzycą, uzależnionym od alkoholu i palącym papierosy. Jednocześnie wiele wytycznych i rekomendacji zaleca wykonywanie szczepień ochronnych przeciwko pneumokokom w grupie osób ≥ 65 lat. W świetle badania Bonten 2015 szczepienie osób starszych skoniugowaną 13-walentną szczepionką przeciwko pneumokokom zmniejszyło w ciągu 4 lat ryzyko zachorowania



na pneumokokowe pozaszpitalne zapalenie płuc oraz inwazyjną chorobę pneumokokową, wywołane przez typy serologiczne pneumokoka uwzględnione w szczepionce.

Celem głównym programu jest „uzyskanie nie mniejszego niż 75% poziomu zaszczepienia przeciwko pneumokokom wśród populacji osób od 65 roku życia, zamieszkałych w gminie Kleszczów, w latach 2021-2024”. Program ma objąć całą populację mieszkańców we wskazanym wieku, czyli łącznie 896 osób.

Osoby spełniające kryteria włączenia do programu zostaną zaszczepione 13-walentną szczepionką przeciwko pneumokokom (PCV-13). Schemat jednodawkowy szczepienia jest zgodny z ChPL. Szczepienie będzie poprzedzone badaniem lekarskim kwalifikującym do szczepienia. Podczas wizyty uczestnik zostanie poinformowany o zagrożeniach związanych z zakażeniem i infekcją układu oddechowego oraz o szczepieniu i reakcji organizmu na podaną szczepionkę, w tym na temat sposobu postępowania w przypadku wystąpienia niepożądanego odczynu poszczepiennego. W przypadku wystąpienia przeciwwskazań wyznaczony zostanie kolejny termin wizyty. W ramach programu planowane jest również przeprowadzenie dla mieszkańców gminy wykładu/pogadanki na temat zakażeń pneumokokowych.

Ocena jakości świadczeń w programie ma zostać przeprowadzona w oparciu o ankietę udostępnianą uczestnikom programu. W opisie działań informacyjno-edukacyjnych wskazano na przeprowadzenie badania poziomu wiedzy (pre-test, post-test). Do projektu dołączono wzory ankiety satysfakcji oraz przykładową treść testu wiedzy.

Ewaluacja programu będzie opierać się na porównaniu stanu sprzed wprowadzenia działań w ramach programu, a stanem po jego zakończeniu.

Program będzie finansowany z budżetu gminy Kleszczów. Koszt jednostkowy oszacowano na 320 zł. Planowane koszty całkowite na realizację programu wynoszą 296 272 zł.

Oceniając projekt programu należy zaznaczyć, że:

- W celu głównym wnioskodawca nie wskazał uzasadnienia dla przyjętej wartości docelowej. Dodatkowo cel ten nie odnosi się bezpośrednio do efektu zdrowotnego.
- Większość spośród celów szczegółowych została sformułowana w sposób nieprawidłowy.
- Większość założonych mierników efektywności nie spełnia takiej funkcji.
- W treści programu autorzy odwołują się do nieaktualnego Programu Szczepień Ochronnych (na 2020 rok).
- Wnioskodawca wskazał, że ewaluacja programu zostanie przeprowadzona w 2023 roku, tymczasem program ma się zakończyć rok później.

Wszystkie wymienione nieprawidłowości wymagają skorygowania.

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.431.2.2021 „Program polityki zdrowotnej w zakresie profilaktyki zakażeń pneumokokowych dla mieszkańców Gminy Kleszczów po 65 roku życia na lata 2021-2024” realizowany przez: Gminę Kleszczów, Warszawa, marzec 2021 oraz Aneksu „Szczepienia przeciwko pneumokokom wśród osób starszych – wspólne podstawy oceny” z grudnia 2018 r.