



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

BP.401.26.2021.MKZ

Protokół nr 24/2021
z posiedzenia Rady Przejrzystości
w dniu 7 czerwca 2021 roku
w formie wideokonferencji

Piotr Szymański otworzył posiedzenie o godzinie 10:02.

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

1. Anna Cieślik
2. Dariusz Jarnutowski
3. Dorota Kilańska
4. Tomasz Młynarski
5. Michał Myśliwiec
6. Rafał Niżankowski
7. Rafał Suwiński
8. Piotr Szymański
9. Janusz Szyndler

Proponowany porządek obrad:

1. Ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Botox (toxinum botulinicum typum A ad iniectabile) w ramach programu lekowego „Leczenie migreny przewlekłej z wykorzystaniem toksyny botulinowej typu A (ICD-10: G43)”.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Symkevi (tezacaftorum/ivacaftorum) + Kalydeco (ivacaftorum) w ramach programu lekowego „Leczenie mukowiscydozy przy zastosowaniu tezakaftoru i iwakaftoru w skojarzeniu z iwakaftorem (ICD-10 E84)”.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Kaftrio (ivacaftorum/ tezacaftorum/ elexacaftorum) + Kalydeco (ivacaftorum) w ramach programu lekowego: „Leczenie mukowiscydozy przy zastosowaniu iwakaftoru, tezakaftoru i eleksakaftoru w skojarzeniu z iwakaftorem”.
5. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny szczepionki Prevenar 13 (vaccinum pneumococcale saccharidicum coniugatum adsorbatum” we wskazaniu: profilaktyka osób powyżej 65 r.ż. ze zwiększonym (umiarkowanym do wysokiego) ryzykiem choroby pneumokokowej tj. z: przewlekłą chorobą serca, przewlekłą chorobą wątroby, przewlekłą chorobą płuc, cukrzycą, implantem ślimakowym, wyciekaniem płynu mózgowo-rdzeniowego, wrodzoną lub nabytą asplenią, niedokrwistością sierpowatą i innymi hemoglobinopatiami, przewlekłą niewydolnością nerek, wrodzonym lub nabytym niedoborem odporności, uogólnioną chorobą nowotworową, zakażeniem wirusem HIV, chorobą Hodgkina, jatrogenną immunosupresją, białaczką, szpiczakiem mnogim, przeszczepem narządu litego.



6. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Erleada (apalutamidum) w ramach programu lekowego: „Leczenie zaawansowanego raka gruczołu krokowego apalutamidem (ICD-10 C61)”.
7. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności wprowadzenia dodatkowego zapisu odnoszącego się do schematu dawkowania cetuksymabu w programie lekowym B.52. „Leczenie raka płaskonabłonkowego narządów głowy i szyi” (wprowadzenie możliwości stosowania cetuksymabu – łącznie z chemioterapią – w dawce 500 mg/m² dożylnie co 2 tygodnie).
8. Przygotowanie opinii o projektach programów polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego:
 - 1) Program badań przesiewowych słuchu dla uczniów klas I szkół podstawowych z terenu powiatu bielskiego w roku szkolnym 2022/2023” ,
 - 2) „Program profilaktyki nowotworu gruczołu krokowego dla mężczyzn zamieszkałych na terenie Gminy Drzewica w wieku 50-69 lat”,
 - 3) „Wsparcie kobiet ciężarnych i matek dzieci z wrodzoną wadą rozwojową oraz ich rodzin pn. »OD-ŻYJ«”(Wrocław),
 - 4) „Program szczepień profilaktycznych przeciwko zakażeniom pneumokokowym dla mieszkańców Gminy Trzebowniko w wieku od 60 roku życia na lata 2021-2022”.
9. Zakończenie posiedzenia.

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

Decyzją Prowadzącego posiedzenie omówienie programu polityki zdrowotnej gminy Trzebowniko zostało przeniesione po pkt 6 porządku obrad.

Zmieniony porządek obrad:

1. Ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Botox (toxinum botulinicum typum A ad iniectabile) w ramach programu lekowego „Leczenie migreny przewlekłej z wykorzystaniem toksyny botulinowej typu A (ICD-10: G43)”.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Symkevi (tezacaftorum/ivacaftorum) + Kalydeco (ivacaftorum) w ramach programu lekowego „Leczenie mukowiscydozy przy zastosowaniu tezakaftoru i iwakaftoru w skojarzeniu z iwakaftorem (ICD-10 E84)”.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Kaftrio (ivacaftorum/ tezacaftorum/ elexacaftorum) + Kalydeco (ivacaftorum) w ramach programu lekowego: „Leczenie mukowiscydozy przy zastosowaniu iwakaftoru, tezakaftoru i eleksakaftoru w skojarzeniu z iwakaftorem”.
5. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny szczepionki Prevenar 13 (vaccinum pneumococcale saccharidicum coniugatum adsorbatum” we wskazaniu: profilaktyka osób powyżej 65 r.ż. ze zwiększonym (umiarkowanym do wysokiego) ryzykiem choroby pneumokokowej tj. z: przewlekłą chorobą serca, przewlekłą chorobą wątroby, przewlekłą chorobą płuc, cukrzycą, implantem ślimakowym, wyciekami płynu mózgowo-rdzeniowego, wrodzoną lub nabytą asplenią, niedokrwistością sierpowatą i innymi hemoglobinopatiami, przewlekłą niewydolnością nerek, wrodzonym lub nabytym niedoborem odporności, uogólnioną chorobą nowotworową, zakażeniem wirusem HIV, chorobą Hodgkina, jatrogenną immunosupresją, białaczką, szpiczakiem mnogim, przeszczepem narządu litego.
6. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Erleada (apalutamidum) w ramach programu lekowego: „Leczenie zaawansowanego raka gruczołu krokowego apalutamidem (ICD-10 C61)”.

8. 1) Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program szczepień profilaktycznych przeciwko zakażeniom pneumokokowym dla mieszkańców Gminy Trzebowniko w wieku od 60 roku życia na lata 2021-2022”.
7. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności wprowadzenia dodatkowego zapisu odnoszącego się do schematu dawkowania cetuksymabu w programie lekowym B.52. „Leczenie raka płaskonabłonkowego narządów głowy i szyi” (wprowadzenie możliwości stosowania cetuksymabu – łącznie z chemioterapią – w dawce 500 mg/m² dożylnie co 2 tygodnie).
- c.d. 8 Przygotowanie opinii o projektach programów polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego:
 - 2) Program badań przesiewowych słuchu dla uczniów klas I szkół podstawowych z terenu powiatu bielskiego w roku szkolnym 2022/2023” ,
 - 3) „Program profilaktyki nowotworu gruczołu krokowego dla mężczyzn zamieszkałych na terenie Gminy Drzewica w wieku 50-69 lat”,
 - 4) „Wsparcie kobiet ciężarnych i matek dzieci z wrodzoną wadą rozwojową oraz ich rodzin pn. »OD-ŻYJ«”(Wrocław).

9. Zakończenie posiedzenia.

Rada jednogłośnie (9 głosów „za”) przyjęła zaproponowany porządek obrad.

Do posiedzenia dołączył Artur Zaczyński, który nie zadeklarował konfliktu interesów.

Ad 2. Analityk Agencji podsumował raport w sprawie leku Botox (wniosek refundacyjny) w ramach programu lekowego dot. leczenia migreny przewlekłej, 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 1 do protokołu).

Ad 3. Analityk Agencji omówił najważniejsze informacje z raportu w sprawie leku Symkevi + Kalydeco (wniosek refundacyjny) w ramach programu lekowego dot. leczenia mukowiscydozy.

Rada wysłuchiwała dopuszczonych do udziału przedstawicieli pacjentów, który zaprezentowali swoje stanowisko do leków omawianych w ramach 3 i 4 punktu porządku obrad oraz odpowiadali na pytania Rady.

Propozycję stanowisk Rady objętych pkt 3 i 4 porządku obrad przedstawił Janusz Szyndler.

Ad 4. Analityk Agencji streścił raport w sprawie leku Kaftrio + Kalydeco (wniosek refundacyjny) w ramach programu lekowego dot. leczenia mukowiscydozy.

Ad 3 i 4. W dyskusji i formułowaniu końcowych wersji stanowisk głos zabrali: Rafał Suwiński, Piotr Szymański, Janusz Szyndler, Rafał Niżankowski, Dorota Kilańska, Michał Myśliwiec,

c.d. Ad 3. Wobec braku innych głosów, Prowadzący zarządził głosowania, w wyniku których Rada 5 głosami „za”, przy 4 głosach przeciw (9 osób obecnych, Artur Zaczyński nie brał udziału w głosowaniu ze względu na chwilowa nieobecność na posiedzeniu) uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 2 do protokołu),

c.d. Ad 4. W związku z brakiem innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 5 głosami „za”, przy 4 głosach przeciw (9 osób obecnych, Artur Zaczyński nie brał udziału w głosowaniu ze względu na chwilowa nieobecność na posiedzeniu) uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 3 do protokołu).

Ad 5. Analityk Agencji streścił raport w sprawie szczepionki Prevenar 13 (wniosek refundacyjny) we wskazaniu: profilaktyka osób powyżej 65 r.ż. ze zwiększonym (umiarkowanym do wysokiego) ryzykiem choroby pneumokokowej tj. z: przewlekłą chorobą serca, przewlekłą chorobą wątroby, przewlekłą chorobą płuc, cukrzycą, implantem ślimakowym, wyciekami płynu mózgowo-rdzeniowego, wrodzoną lub nabytą asplenią, niedokrwistością sierpowatą i innymi hemoglobinopatiami, przewlekłą niewydolnością nerek, wrodzonym lub nabytym niedoborem odporności, uogólnioną chorobą nowotworową, zakażeniem wirusem HIV, chorobą Hodgkina, jatrogenną immunosupresją, białaczką, szpiczakiem mnogim, przeszczepem narządu litego.

Rada wysłuchała stanowiska dopuszczonego do udziału w posiedzeniu eksperta.

Propozycję stanowiska Rady przedstawiła Anna Cieślik.

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 6. Analityk Agencji streścił raport w sprawie leku Erleada (wniosek refundacyjny) w ramach programu lekowego dot. leczenia zaawansowanego raka gruczołu krokowego, a propozycję stanowiska Rady przedstawił Michał Myśliwiec.

W dyskusji głos zabrali: Rafał Suwiński, Rafał Niżankowski, Michał Myśliwiec oraz Piotr Szymański.

W związku z oczekiwaniem na nadesłanie dokumentów od dopuszczonego do udziału w posiedzeniu eksperta, decyzją Prowadzącego posiedzenie, Rada przeszła do omówienia kolejnego punktu porządku obrad.

Ad 8 1) Analityk Agencji omówił raport programu polityki zdrowotnej gminy Trzebownik w zakresie szczepień profilaktycznych przeciwko zakażeniom pneumokokowym, a propozycję opinii Rady przedstawiła Dorota Kilańska.

c.d. Ad 6. Rada wysłuchała stanowiska dopuszczonego do udziału w posiedzeniu eksperta.

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

c.d. Ad 8 1) W związku z brakiem innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 6 do protokołu).

Ad 7. Analityk Agencji streścił raport w sprawie zasadności wprowadzenia dodatkowego zapisu odnoszącego się do schematu dawkowania cetuksymabu w programie lekowym B.52. „Leczenie raka płaskonabłonkowego narządów głowy i szyi”, a propozycję opinii Rady przedstawił Rafał Suwiński.

Posiedzenie opuściła Dorota Kilańska.

W związku z brakiem głosów w dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 7 do protokołu).

Ad 8 2) Analityk Agencji omówił raport programu polityki zdrowotnej powiatu bielskiego w zakresie badań przesiewowych słuchu dla uczniów klas I szkół podstawowych, a propozycję opinii Rady przedstawił Tomasz Młynarski.

W związku z brakiem głosów w dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 8 do protokołu).

3) Analityk Agencji omówił raport programu polityki zdrowotnej gminy Drzewica w zakresie profilaktyki nowotworu gruczołu krokowego, a propozycję opinii Rady przedstawił Dariusz Jarnutowski.

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

4) Analityk Agencji omówił raport programu polityki zdrowotnej miasta Wrocław w zakresie wsparcia kobiet ciężarnych i matek dzieci z wrodzoną wadą rozwojową, a propozycję opinii Rady przedstawił Piotr Szymański.

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

Ad 9. Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 14:23.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 66/2021 z dnia 7 czerwca 2021 roku
w sprawie oceny leku Botox (toksyna botulinowa typu A)
w ramach programu lekowego
„Leczenie migreny przewlekłej z wykorzystaniem toksyny botulinowej
(ICD-10 G43)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Botox (toksyna botulinowa typu A), proszek do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 100 jednostek Allergan kompleksu neurotoksyny Clostridium botulinum typu A/fiolkę, 1, fiol. proszku, kod EAN: 05909990674817, w ramach programu lekowego „Leczenie migreny przewlekłej z wykorzystaniem toksyny botulinowej (ICD-10 G43)”, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie.

Rada Przejrzystości nie zgłasza uwag do [REDACTED].

Rada zgłasza następujące uwagi do projektu programu lekowego: program powinien uwzględniać konieczność prowadzenia leczenia przez specjalistę w ośrodkach mających duże doświadczenie w leczeniu bólów głowy toksyną botulinową oraz mających dostęp do technik detoksykacji przed lub w trakcie terapii.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Migrena (ICD-10: G43) jest chorobą przewlekłą, cechującą się napadami bólu głowy, którym mogą towarzyszyć inne objawy neurologiczne oraz zaburzenia vegetatywne, szczególnie dotyczące czynności przewodu pokarmowego.

Częstość występowania migreny zależy od wieku, płci i rasy; przed okresem dojrzewania wynosi ~4%, następnie zwiększa się do 35 roku życia, szybciej u płci żeńskiej niż męskiej. Na migrenę choruje średnio 6% mężczyzn i 18% kobiet (w grupie wiekowej 30-35 lat nawet 30%).

Dowody naukowe

We wszystkich aktualnych zaleceniach zagranicznej i polskiej praktyki klinicznej opublikowanych po 2018 roku, w przedmiotowej populacji docelowej, tj. u osób dorosłych z migreną przewlekłą po co najmniej 2 lub 3 terapiach innymi lekami



wykorzystywanymi w profilaktyce migreny, rekomendowane jest stosowanie toksyny botulinowej typu A. Część wytycznych wskazuje na możliwość równoległego wykorzystywania terapii nefarmakologicznych, w celu maksymalizacji redukcji liczby dni z migreną. Zaznacza się również, że na skuteczność i utrzymanie skutków terapii profilaktycznej toksyną botulinową typu A wpływ ma ograniczenie spożycia leków przeciwbólowych oraz detoksykacja. Eksperci, jako kluczowe przyczyny, dla których wnioskowana technologia powinna być finansowana ze środków publicznych, wskazują głównie na:

- wysoką skuteczność zastosowania toksyny botulinowej typu A w leczeniu migreny przewlekłej, udowodnioną w randomizowanych badaniach i rzeczywistej praktyce klinicznej,
- poprawę jakości życia i produktywności/aktywności społecznej pacjentów poddanych terapii,
- zmniejszenie kosztów bezpośrednich i pośrednich ponoszonych w związku z ciężkimi stanami migrenowymi,
- bezpieczeństwo technologii w przypadku stosowania u kobiet planujących posiadanie dzieci.

Próby kliniczne potwierdzają skuteczność interwencji (choć nie odnaleziono badań z wyodrębnionymi wynikami dla wnioskowanej populacji). W populacji ogólnej badań PREEMPT stosowanie toksyny botulinowej wiązało się z istotnym statystycznie zmniejszeniem względem wartości początkowej liczby dni ze stosowaniem leków przeciwbólowych oraz częstości przyjmowania tryptanów. W badaniach Andreou 2018 i Stark 2019 zaobserwowano istotnie statystycznie zmniejszenie liczby dni z bólem głowy, migreną oraz ciężkim bólem głowy w miesiącu względem wartości początkowej.

Problem ekonomiczny

W analizie założono, że pacjenci leczeni BSC, rozumianej jako brak terapii o charakterze profilaktycznym odbywają wizyty monitorujące u neurologa. Koszt jednorazowej wizyty oszacowano na podstawie wyceny świadczenia W11 Świadczenia specjalistycznego I typu zgodnie z Zarządzeniem nr 25/2020/DSOZ zmieniającym zarządzenie w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów o udzielanie świadczeń opieki zdrowotnej w rodzaju ambulatoryjna opieka specjalistyczna (przyjęto wycenę punktową obowiązującą od stycznia 2021 roku). Założono, że pacjent odbywa wizytę raz na 12 tygodni.

[REDAKTOWANE]

Główne argumenty decyzji

Terapia Botox jest terapią [REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE], a efekty zdrowotne zostały potwierdzone zarówno klinicznie, jak i naukowo. Ważne jest jednak, aby program lekowy z wykorzystaniem Toksyny A w leczeniu był prowadzony w ośrodkach mających doświadczenie w jej stosowaniu.

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 2021 r., poz. 523), 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.4231.12.2021 „Wniosek o objęcie refundacją leku Botox (toksyna botulinowa typu A) we wskazaniu: w ramach programu lekowego: »Leczenie migreny przewlekłej z wykorzystaniem toksyny botulinowej (ICD-10 G43)«”; data ukończenia: 20.05.2019 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Allergan 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: Allergan Sp. z o.o.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 67/2021 z dnia 7 czerwca 2021 roku
w sprawie oceny leku Symkevi (tezacaftorum/ivacaftorum) +
Kalydeco (ivacaftorum) w ramach programu lekowego
„Leczenie mukowiscydozy przy zastosowaniu tezakaftoru i iwakaftoru
w skojarzeniu z iwakaftorem (ICD-10 E84)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktów leczniczych:

- *Symkevi (tezakaftor + iwakaftor), tabletki powlekane, 50 mg+75 mg, 28 tabletek, kod EAN: 00351167144404,*
- *Symkevi (tezakaftor + iwakaftor), tabletki powlekane, 100 mg+150 mg, 28 tabletek, kod EAN: 0351167136102,*
- *Kalydeco (iwakaftor), tabletki powlekane, 75 mg, 28 tabletek, kod EAN: 00351167144503,*
- *Kalydeco (iwakaftor), tabletki powlekane, 150 mg, 28 tabletek, kod EAN: 0351167136201,*

w ramach programu lekowego „Leczenie mukowiscydozy przy zastosowaniu tezakaftoru i iwakaftoru w skojarzeniu z iwakaftorem (ICD-10 E84)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Mukowiscydoza jest chorobą dziedziczną, o autosomalnym recesywnym typie dziedziczenia, dotyczącą głównie układów oddechowego i pokarmowego. Obecnie w Polsce żyje około 2400 chorych, a częstość występowania mukowiscydozy wynosi około 1/5000 urodzeń. Przyczyną choroby są mutacje w obrębie genu CFTR. W przypadku mutacji obu alleli genu dochodzi do braku syntezy bądź powstawania zmniejszonej ilości i/lub wadliwego białka, czego następstwem jest zablokowanie lub upośledzenie transportu chloru z komórek i zwiększenie absorpcji sodu do komórek. Dotychczas zidentyfikowano 346 różnych mutacji genu CFTR powiązanych z mukowiscydozą. Mutacje genu CFTR dzieli się w zależności od mechanizmów prowadzących do zakłócenia funkcji białka oraz wynikających z nich efektów klinicznych. Konsekwencją tych zaburzeń



jest przede wszystkim stopniowa destrukcja oskrzeli z zajęciem mięszu płuc, co prowadzi do niewydolności oddechowej i zgonu (w Polsce zgon pacjentów występuje około 22. r.ż., co jest wynikiem dalece gorszym niż w przypadku innych krajów rozwiniętych), dlatego już od momentu rozpoznania choroby, pacjenci muszą podjąć leczenie i rehabilitację, a także realizować zalecenia, dotyczące zapobiegania zakażeniom dróg oddechowych.

Aktualnie w Polsce w leczeniu mukowiscydozy stosuje się leczenie wspomagające, które obejmuje leki stosowane w leczeniu zakażeń (tobramycyna, kolistyna), środki mukolityczne, enzymy trzustkowe, pankreatynę, kwas ursodeoksycholowy oraz diety wysokoenergetyczne. Dla populacji pacjentów z mutacjami bramkującymi genu CFTR (klasy III): G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N lub S549R., od 2020 roku, w ramach programu lekowego dostępny jest produkt Kalydeco.

Przedmiotem bieżącej analizy jest refundacja w ramach programu lekowego produktów Symkevi w połączeniu z Kalydeco dla pacjentów

Dowody naukowe

Dowody na skuteczność kliniczną terapii pochodzą głównie z randomizowanych badań klinicznych wysokiej jakości, w których porównywano stosowanie produktu Symkevi (tezakaftor+iwakaftor) i Kalydeco (iwakaftor) z placebo: badania EVOLVE (Taylor-Cousar 2017) - populacja homozygotyczna), badania EXPAND z fazą przedłużoną EXTEND (Rowe, 2017; Flume 2021) – populacja heterozygotyczna oraz badania oceniające skuteczność leczenia w populacji dzieci 6-11 lat (podgrupy pacjentów z obiema rodzajami mutacji) – EMBRACE (Davies 2020), ENTRUST (Walker 2019) oraz nieopublikowane badanie 661-116A. Pod uwagę wzięto także 10 przeglądów systematycznych odnoszących się do różnych aspektów leczenia, w tym bezpieczeństwa terapii.

Przeprowadzone analizy wykazały, że leczenie produktem Symkevi w populacji pacjentów homo (EVOLVE) – i heterozygotycznych (EXPAND) w wieku powyżej 12 lat, skutkuje poprawą w zakresie ppFEV₁, zmniejszeniem stężenia chlorków w pocie (SwCl), zmniejszeniem ryzyka infekcyjnych zaostrzeń płucnych, zwiększeniem BMI, jak również poprawą jakości życia. Efekt kliniczny pojawia się szybko i jest trwały w perspektywie co najmniej 24 tygodni. Należy zauważyć, że osiągnany efekt jest znacząco lepszy wśród pacjentów heterozygotycznych (np. względna zmiana ppFEV₁ w badaniu EVOLVE wyniosła 6,3 [95% CI 5,1-7,4], natomiast w badaniu EXPAND – 11,4 [95% CI 9,6-13,2]).

Uzyskany efekt kliniczny w populacji dzieci w wieku między 6 a 11 lat nie odbiega znacząco od uzyskanego dla populacji starszej. W badaniu EMBRANCE włączano do badania dzieci leczone uprzednio modulatorem CFTR (Orkambi w przypadku

pacjentów homozygotycznych i Kalydeco, w przypadku heterozygot). W badaniu ENTRUST również rekrutowano pacjentów w wieku 6-11 lat. W badaniu EMBRANCE po 8 tygodniach leczenia odnotowano poprawę między innymi w zakresie LCI_{2,5} oraz pod względem ppFEV1 oraz SwCl.

Z kolei w badaniu ENTRUST, po 24 tyg. leczenia uzyskany efekt na ppFEV1 był bardzo słaby, z porównywalny efektem w zakresie SwCl. W średnioterminowej obserwacji (96 tyg.) w obu badaniach zaobserwowano

[redacted]. Wielkość uzyskanego efektu (ocenianego po 8 tygodniach – EMBRANCE) nie różniła się znacząco pomiędzy homo- i heterozygotami. W przypadku ppFEV1 poprawa nie osiągnęła poziomu 10 p.p. charakteryzującą interwencje o bardzo wysokiej skuteczności. [redacted] utrzymywała się w perspektywie 96 tygodni na zbliżonym poziomie.

Profil bezpieczeństwa leczenia należy uznać za zadowalający. Ryzyko wystąpienia działań niepożądanych w populacji leczonych pacjentów jest niższe niż w grupie otrzymującej placebo. Podczas terapii należy zwrócić uwagę na ryzyko interakcji z inhibitorami CYP3A4, kontroli wymagają także parametry wątrobowe, konieczne jest także prowadzenie regularnej kontroli okulistycznej, ze względu na obserwowane przypadki zaćmy.

Zgodnie z rekomendacjami klinicznymi, u pacjentów z mukowiscydozą zaleca się, poza intensywnym, kompleksowym leczeniem obejmującym między innymi profilaktykę i leczenie zakażeń bakteryjnych, leki mukolityczne, diety wysokoenergetyczne także stosowanie modulatory CFTR (PTM 2019, ECFS 2018, CFF 2018, NICE 2020, RBH NHS 2020). Eksperti kliniczni wspierają finansowanie ocenianej technologii.

Analizując zalecenia dotyczące leczenia przyczynowego mukowiscydozy u chorych w wieku 6 lat i starszych, o genotypie F508del/F508del i F508del/RF, w wytycznych ECFS 2018 wskazano, iż lumakaftor powinien być dostępny jako opcja leczenia u chorych homozygotycznych z mutacjami f508del bez określenia wieku pacjentów. W przypadku mutacji związanych z resztkową czynnością białka CFTR (RF), skuteczność u chorych wykazał iwakaftor. W wytycznych CFF 2018 wydano warunkowe zalecenie dotyczące leczenia iwakaftor/lumakaftor u dzieci w wieku 6-11 lat niezależnie od wartości FEV1.

Problem ekonomiczny

Zgodnie z przeprowadzoną analizą użyteczności kosztów, wykazano, że stosowanie wnioskowanej terapii w porównaniu do leczenia standardowego w perspektywie dożywotniej jest [redacted]

[redacted]. Wyniki analizy probabilistycznej wykazały, że [redacted]

[REDAKCYJNE]

Dodatkowa analiza wpływu na budżet przeprowadzona z uwzględnieniem liczebności populacji na podstawie danych z NFZ, wykazała [REDAKCYJNE]

[REDAKCYJNE]

Rekomendacje refundacyjne dotyczące stosowania ocenianego produktu nie są spójne. Zgodnie z pozytywnymi rekomendacjami PBAC (2019) oraz HAS 2020 wskazuje się na efektywność leczenia we wnioskowanej populacji. W Wielkiej Brytanii terapia skojarzona jest tymczasowo finansowana dla wszystkich pacjentów zgodnie ze wskazaniami, a jej efektywność będzie następnie oceniona przez NICE i SMC.

Negatywna rekomendacja G-BA (2020/2021) agencji niemieckiej wskazuje, że nie udowodniono dodatkowej korzyści dla populacji leczonej lekiem Symkevi w porównaniu z Orkambi, ponadto ograniczeniem jest bardzo niska opłacalność wnioskowanej technologii.

Zdaniem Rady, wskazane jest opracowanie zintegrowanego projektu programu lekowego, dotyczącego leczenia mukowiscydozy, z uwzględnieniem aktualnie finansowanych technologii, jak również technologii wnioskowanych.

Główne argumenty decyzji

Dostępne dane wskazują na efektywność kliniczną, w odniesieniu do zastępczych punktów końcowych w perspektywie krótkoterminowej, oraz zadowalający profil bezpieczeństwa stosowania wnioskowanej technologii. Brak jest danych dot. wpływu interwencji na przeżywalność chorych. Wytyczne kliniczne oraz eksperci popierają wprowadzenie finansowania. Jednakże w chwili obecnej, proponowana cena leku jest bardzo wysoka, parametry użyteczności kosztowej [REDAKCYJNE]. Dodatkowo wydaje się, że wnioskowana technologia jest mniej skuteczna od potrójnej terapii modyfikującej CFTR.

Rada Przejrzystości uznaje [REDAKCYJNE]. Konieczne jest: a) znaczące obniżenie ceny leku, b) wprowadzenie limitu maksymalnych rocznych wydatków budżetowych, jak również c) ograniczenie populacji docelowej do populacji pediatrycznej w wieku 6-11 lat.

Zdaniem Rady, wskazane jest opracowanie zintegrowanego projektu programu lekowego, dotyczącego leczenia mukowiscydozy, z uwzględnieniem aktualnie finansowanych technologii, jak również technologii wnioskowanych oraz działań pozwalających na poprawę standardu opieki koordynowanej nad pacjentami, poprawę dostępności do podstawowych leków i świadczeń oraz utworzenia sieci ośrodków leczenia mukowiscydozy, spełniających międzynarodowe standardy, mającej decydujący wpływ na wydłużenie życia chorych.

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 2021 r., poz. 523), 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.4231.17.2021 „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu produktu leczniczego Symkevi (tezakaftor + iwakaftor) i Kalydeco (iwakaftor) w ramach programu lekowego »Leczenie mukowiscydozy przy zastosowaniu tezakaftoru i iwakaftoru w skojarzeniu z iwakaftorem (ICD-10 E84)«”; data ukończenia: 26.05.2019 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

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

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Vertex Pharmaceuticals 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: Vertex Pharmaceuticals Poland Sp. z o.o.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 68/2021 z dnia 7 czerwca 2021 roku
w sprawie oceny leku

Kaftrio (ivacaftorum/tezacaftorum/elexacaftorum) +
Kalydeco (ivacaftorum) w ramach programu lekowego
„Leczenie mukowiscydozy przy zastosowaniu iwakaftoru
w skojarzeniu z tezakaftorem i eleksakaftorem”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktów leczniczych:

- Kaftrio (iwakaftor + tezakaftor + eleksakaftor), tabletki powlekane, 75 mg + 50 mg + 100 mg, 56 tabletek, kod EAN: 0351167143902,
- Kalydeco (iwakaftor), tabletki powlekane, 150 mg, 28 tabletek, kod EAN: 0351167136201,

w ramach programu lekowego „Leczenie mukowiscydozy przy zastosowaniu iwakaftoru w skojarzeniu z tezakaftorem i eleksakaftorem”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Mukowiscydoza jest chorobą dziedziczną, o autosomalnym recesywnym typie dziedziczenia, dotyczącą głównie układów oddechowego i pokarmowego. Obecnie w Polsce żyje około 2400 chorych, a częstość występowania mukowiscydozy wynosi około 1/5000 urodzeń. Przyczyną choroby są mutacje w obrębie genu CFTR. W przypadku mutacji obu alleli genu dochodzi do braku syntezy bądź powstawania zmniejszonej ilości i/lub wadliwego białka, czego następstwem jest zablokowanie lub upośledzenie transportu chloru z komórek i zwiększenie absorpcji sodu do komórek. Dotychczas zidentyfikowano 346 różnych mutacji genu CFTR powiązanych z mukowiscydozą. Mutacje genu CFTR dzieli się w zależności od mechanizmów prowadzących do zakłócenia funkcji białka oraz wynikających z nich efektów klinicznych. Konsekwencją tych zaburzeń jest przede wszystkim stopniowa destrukcja oskrzeli z zajęciem mięszu płuc, co prowadzi do niewydolności oddechowej i zgonu (w Polsce zgon pacjentów występuje około 22. r.ż. co jest wynikiem dalece gorszym niż w przypadku innych krajów rozwiniętych), dlatego już od momentu rozpoznania choroby, pacjenci



muszą podjąć leczenie i rehabilitację, a także realizować zalecenia dotyczące zapobiegania zakażeniom dróg oddechowych.

Aktualnie w Polsce w leczeniu mukowiscydozy stosuje się leczenie wspomagające, które obejmuje leki stosowane w leczeniu zakażeń (tobramycyna, kolistyna), środki mukolityczne, enzymy trzustkowe, pankreatynę, kwas ursodeoksycholowy oraz diety wysokoenergetyczne. Dla populacji pacjentów z mutacjami bramkującymi genu CFTR (klasy III): G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N lub S549R., od 2020 roku, w ramach programu lekowego dostępny jest produkt Kalydeco.

Przedmiotem bieżącej analizy jest refundacja w ramach programu lekowego produktów Kaftrio w połączeniu z Kalydeco dla pacjentów

, co stanowi większość populacji pacjentów z mukowiscydozą w Polsce (łącznie około 70%).

Dowody naukowe

Dowody na skuteczność kliniczną terapii pochodzą głównie z randomizowanych badań klinicznych, w których porównywano stosowanie produktu Kaftrio i Kalydeco z placebo (Middleton 2019, Griese 2020, Keating 2019 – populacja hetrezygotyczna) oraz z terapią dwuskładnikową (Symkevi – tezakaftor+iwakaftor) w populacji homozygotycznej (Keating 2019). Dodatkowo w ramach analiz pośrednich, badania porównujące Kaftrio i Symkevi w populacji homozygotycznej (Heijerman 2019, VX18-445-109) oraz badania porównujące skuteczność i bezpieczeństwo terapii Symkevi z PLC+SoC w populacji F/F: Donaldson 2018, Schwarz 2020 i badanie EVOLVE (Taylor-Cousar 2017). Dodatkowo brano pod uwagę badania dotyczące rzeczywistej praktyki klinicznej. Przeprowadzone analizy wykazały, że leczenie terapią trójskładnikową w populacji pacjentów z heterozygotyczną mutacją skutkuje poprawą w zakresie ppFEV1, zmniejszeniem stężenia chlorków w pocie (SwCl), zmniejszeniem ryzyka infekcyjnych zaostrzeń płucnych, zwiększeniem BMI, jak również poprawą jakości życia. Należy zauważyć, że efekt kliniczny pojawia się względnie szybko (2-4 tygodnie) i utrzymuje się podczas dłuższego, 20 tyg. okresu obserwacji. Analizy przeprowadzone w populacji homozygotycznej również wykazały istotne zmiany w zakresie między innymi w ppFEV1, SwCl, a efekt był zbliżony do osiąganego w populacji heterozygotycznej. Należy dodatkowo zauważyć, że badania uwzględnione w porównaniach pośrednich różniły się znacząco pod względem istotnych parametrów, w tym wieku chorych włączonych do badania, (badania Keating 2018 oraz Donaldson 2018 przeprowadzone w populacji dorosłych pacjentów), uprzedniego leczenia modulatorami CFTR, wyjściowych minimalnych wartości parametrów ppFEV1. Wyniki badań potwierdzają utrzymywanie się dobrej skuteczności klinicznej przy braku

istotnych zmian związanych z profilem bezpieczeństwa leczenia w okresie 24 - 36 tygodni.

Profil bezpieczeństwa leczenia należy uznać za zadowalający. Ryzyko wystąpienia działań niepożądanych w populacji leczonych pacjentów jest niższe niż w grupie otrzymującej placebo. Podczas terapii należy zwrócić uwagę na ryzyko interakcji z inhibitorami CYP3A4, kontroli wymagają także parametry wątrobowe, konieczne jest także prowadzenie regularnej kontroli okulistycznej, ze względu na obserwowane przypadki zaćmy.

Zgodnie z rekomendacjami klinicznymi, u pacjentów z mukowiscydozą zaleca się, poza intensywnym, kompleksowym leczeniem, obejmującym między innymi profilaktykę i leczenie zakażeń bakteryjnych, leki mukolityczne, diety wysokoenergetyczne także stosowanie modulatory CFTR (PTM 2019, ECFS 2018, CFF 2018, NICE 2020, RBH NHS 2020). Eksperti kliniczni wspierają finansowanie ocenianej technologii.

Problem ekonomiczny

Zgodnie z przeprowadzoną analizą użyteczności kosztów, wykazano, że stosowanie wnioskowanej terapii w porównaniu do leczenia standardowego w perspektywie dożywotniej

Wyniki analizy probabilistycznej wykazały, że

Dodatkowa analiza wpływu na budżet przeprowadzona z uwzględnieniem liczebności populacji na podstawie danych z NFZ, wykazała

Rekomendacje refundacyjne, dotyczące stosowania ocenianego produktu, nie są spójne. Zgodnie z pozytywnymi rekomendacjami HAS (2020) oraz G-BA (2021) wskazuje się na efektywność leczenia we wnioskowanej populacji. W Wielkiej Brytanii terapia skojarzona jest tymczasowo finansowana dla wszystkich pacjentów zgodnie ze wskazaniami, a jej efektywność będzie następnie oceniona przez NICE. Oceny w agencjach kanadyjskiej (CADTH), australijskiej (PBAC) są w trakcie opracowywania.

Negatywna rekomendacja ZN (2021) agencji holenderskiej wskazuje, że ograniczeniem jest brak długoterminowych wyników leczenia, opłacalność wnioskowanej technologii jest bardzo niska, a żądana przez producenta cena jest niewytłumaczalnie wysoka. Warunkiem włączenia do systemu refundacji jest obniżenie ceny o 75%, negocjacje w zakresie umowy na wszystkie modulatory CTFR, a także gromadzenie długoterminowych danych dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa.

Zdaniem Rady, wskazane jest opracowanie zintegrowanego projektu programu lekowego, dotyczącego leczenia mukowiscydozy, z uwzględnieniem aktualnie finansowanych technologii, jak również technologii wnioskowanych.

Główne argumenty decyzji

Dostępne dane wskazują na efektywność kliniczną, w odniesieniu do zastępczych punktów końcowych w perspektywie krótkoterminowej, oraz zadowalający profil bezpieczeństwa stosowania wnioskowanej technologii. Brak jest danych dot. wpływu interwencji na przeżywalność chorych. Wytyczne kliniczne oraz eksperci popierają wprowadzenie finansowania. Jednakże w chwili obecnej, proponowana cena leku jest bardzo wysoka, parametry użyteczności kosztowej [redacted]. Dodatkowo wydaje się, że wnioskowana technologia jest mniej skuteczna od potrójnej terapii modyfikującej CFTR.

Rada Przejrzystości uznaje [redacted]. Konieczne jest: a) znaczące obniżenie ceny leku, b) wprowadzenie limitu maksymalnych rocznych wydatków budżetowych.

Zdaniem Rady, wskazane jest opracowanie zintegrowanego projektu programu lekowego, dotyczącego leczenia mukowiscydozy, z uwzględnieniem aktualnie finansowanych technologii, jak również technologii wnioskowanych oraz działań pozwalających na poprawę standardu opieki koordynowanej nad pacjentami, poprawę dostępności do podstawowych leków i świadczeń oraz utworzenia sieci ośrodków leczenia mukowiscydozy, spełniających międzynarodowe standardy, mającej decydujący wpływ na wydłużenie życia chorych.

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 2021 r., poz. 523), 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.4231.16.2021 „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu produktu leczniczego Kaftrio (iwakaftor + tezakaftor + eleksakaftor) i Kalydeco (iwakaftor) w ramach programu lekowego „Leczenie

mukowiscydozy przy zastosowaniu iwakaftoru w skojarzeniu z tezakaftorem i eleksakaftorem«”; data ukończenia: 26.05.2019 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

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

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Vertex Pharmaceuticals 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: Vertex Pharmaceuticals Poland Sp. z o.o.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezisie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 69/2021 z dnia 7 czerwca 2021 roku
w sprawie oceny leku Prevenar 13 (szczepionka przeciw
pneumokokom) w profilaktyce osób powyżej 65 r.ż.

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Prevenar 13, szczepionka przeciw pneumokokom sacharydowa, skoniugowana, adsorbowana (13 walentna), zawieszina do wstrzykiwań, 1 amp.-strzyk. 0,5 ml + 1 igła, kod EAN 05909990737420, we wskazaniu: profilaktyka osób powyżej 65 r.ż. ze zwiększonym (umiarkowanym do wysokiego) ryzykiem choroby pneumokokowej tj. z: przewlekłą chorobą serca, przewlekłą chorobą wątroby, przewlekłą chorobą płuc, cukrzycą, implantem ślimakowym, wyciekami płynu mózgowo-rdzeniowego, wrodzoną lub nabytą asplenią, niedokrwistością sierpowatą i innymi hemoglobinopatiami, przewlekłą niewydolnością nerek, wrodzonym lub nabytym niedoborem odporności, uogólnioną chorobą nowotworową, zakażeniem wirusem HIV, chorobą Hodgkina, jatrogenną immunosupresją, białaczką, szpiczakiem mnogim, przeszczepem narządu litego, jako leku dostępnego w aptece na receptę, w ramach nowej grupy limitowej i wydawanie go za odpłatnością 50%.

Rada Przejrzystości akceptuje zaproponowany instrument dzielenia ryzyka.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Wnioskowane jest objęcie refundacją szczepionki Prevenar 13 w ramach wykazu leków refundowanych dostępnych w aptece na receptę i wydawanie jej za odpłatnością [redacted]. W obrocie na rynku krajowym znajdują się trzy szczepionki przeciw pneumokokom: Synflorix, Prevenar 13 i Pneumovax 23, z czego Synflorix nie jest zarejestrowana do stosowania u osób dorosłych. Zgodnie z obwieszczeniem Ministra Zdrowia z dnia 21 kwietnia w sprawie leków refundowanych, żadna z nich nie jest finansowana ze środków publicznych w populacji pacjentów powyżej 65. roku życia.

Dowody naukowe

Badanie randomizowane CAPiTA, prowadzone w populacji w wieku ≥ 65 lat, w grupach umiarkowanego ryzyka (zdefiniowanej występowaniem choroby serca, układu oddechowego, astmy, cukrzycy wymagającej bądź nie leczenia



insuliną, chorób wątroby, palenia tytoniu), po 4 do 5 latach obserwacji wskazują na istotną statystycznie przewagę PCV13 nad brakiem szczepienia w zapobieganiu pierwszemu i wszystkim epizodom pozaszpitalnego zapalenia płuc (PZP) spowodowanych serotypami szczepionkowymi (skuteczność, rozumiana jako zmniejszenie ryzyka wystąpienia PZP wyniosła od 31,8% do 40,3%). Istotną statystycznie przewagę PCV13 nad brakiem wykazano także w zapobieganiu wszystkim epizodom pneumokokowego PZP spowodowanym *S. pneumoniae* (skuteczność rozumiana jako zmniejszenie ryzyka wystąpienia pneumokokowego PZP wyniosła 22,5%), natomiast w przypadku oceny skuteczności PCV13 w zapobieganiu pierwszemu epizodowi pneumokokowego PZP spowodowanym *S. pneumoniae* nie odnotowano różnicy statystycznie istotnej względem grupy przyjmującej placebo. Nie odnaleziono badań porównujących bezpośrednio obie dostępne w Polsce szczepionki przeciwko pneumokokom: PCV 13 i PPSV23.

Należy też zwrócić uwagę na zjawisko zastępowalności serotypowej występujące po przyjęciu szczepionki, ujawniające się pojawiającymi się w populacji szczepionej serotypami innymi niż zawarte w PCV13.

Problem ekonomiczny

Podjęcie pozytywnej decyzji refundacyjnej dla produktu Prevenar 13 spowoduje [redacted]. Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy, stosowanie szczepionki Prevenar 13 w miejsce braku szczepienia jest [redacted].

Główne argumenty decyzji

Szczepienia ochronne są zalecane przez krajowe i międzynarodowe towarzystwa naukowe. Szczepienie przeciw pneumokokom w grupach ryzyka dorosłych, w tym osób po 65 roku życia i przewlekle chorych, jest również zalecane jako szczepienie, które powinno być realizowane (obok szczepienia przeciw grypie) w czasie pandemii COVID-19 (Komunikat Ministra Zdrowia i Głównego Inspektora Sanitarnego w sprawie wykonywania szczepień ochronnych w czasie pandemii COVID-19). Wynika to stąd, że przewlekle choroby płuc, układu krążenia, nowotwory, cukrzyca, niewydolność nerek i zaburzenia odporności sprzyjają zachorowaniom na zapalenie płuc. W opinii ekspertów, profilaktyka zakażeń pneumokokowych u osób dorosłych z chorobami przewlekłymi i chorobami nowotworowymi pozwala na ograniczenie liczby zachorowań na zapalenie płuc, IChP oraz zmniejszenie liczby zgonów. Szczepienie [redacted] jest refundowane w większości krajów europejskich.

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 2021 r., poz. 523), 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.4230.8.2021 „Wniosek o objęcie refundacją leku Prevenar 13 we wskazaniu: profilaktyka osób powyżej 65 r.ż. ze zwiększonym (umiarkowanym do wysokiego) ryzykiem choroby pneumokokowej tj. z: przewlekłą chorobą serca, przewlekłą chorobą wątroby, przewlekłą chorobą płuc, cukrzycą, implantem ślimakowym, wyciekami płynu mózgowo rdzeniowego, wrodzoną lub nabytą asplenią, niedokrwistością sierpowatą i innymi hemoglobinopatiami, przewlekłą niewydolnością nerek, wrodzonym lub nabytym niedoborem odporności, uogólnioną chorobą nowotworową, zakażeniem wirusem HIV, chorobą Hodgkina, jatrogenną immunosupresją, białaczką, szpiczakiem mnogim, przeszczepem narządu litego”; data ukończenia: 26.05.2019 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia eksperta przedstawiona w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

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



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 70/2021 z dnia 7 czerwca 2021 roku

w sprawie oceny leku Erleada (apalutamid) w ramach programu lekowego „Leczenie zaawansowanego raka gruczołu krokowego apalutamidem (ICD-10 C61)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Erleada (apalutamid), tabletki powlekane, 60 mg, 120, tabl. w blistrze, kod EAN: 05413868117059, w ramach programu lekowego „Leczenie zaawansowanego raka gruczołu krokowego apalutamidem (ICD-10 C61)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Rak gruczołu krokowego jest najczęstszym nowotworem złośliwym u mężczyzn i stanowi 20% wszystkich nowotworów. Populacja chorych z przerzutowym rakiem, wrażliwym na hormonoterapię jest zróżnicowana i uwzględnia podgrupy pacjentów: nowo zdiagnozowanych, z postacią pierwotnie postępującą, niskiego i wysokiego ryzyka oraz uwzględniająca obciążenie chorobą przerzutową (low-i high-volume). Chorzy z rozsiewem nowotworu przeżywają 1-3 lata.

Apalutamid jest doustnym, selektywnym inhibitorem receptora androgenowego (AR), który hamuje transkrypcję zależną od AR i nie wykazuje aktywności agonistycznej wobec AR. Leczenie apalutamidem zmniejsza proliferację komórek nowotworowych i nasila ich apoptozę. Przedmiotowe wskazanie jest zgodne ze wskazaniem rejestracyjnym.

Dowody naukowe

Ocenę skuteczności oraz bezpieczeństwa zastosowania apalutamidu (APA) – Erleada, w skojarzeniu z terapią supresji androgenowej (ADT), w leczeniu przerzutowego raka gruczołu krokowego wrażliwego na hormonoterapię (mCSPC) przeprowadzono w jednym badaniu klinicznym III fazy z randomizacją i podwójnym zaślepieniem, kontrolowanym placebo (PBO)–TITAN, w którym w analizie interim (mediana okresu obserwacji 22,7 miesiąca) w grupie APA+ADT odnotowano mniej zgonów w porównaniu do grupy kontrolnej PBO+ADT: 15,8% vs 22,2%. Leczenie apalutamidem skutkowało istotnym statystycznie zmniejszeniem ryzyka zgonu z jakiegokolwiek przyczyny, w porównaniu do kontroli: HR = 0,67 (95% CI: 0,51; 0,89), p = 0,005.



Leczenie

apalutamidem skutkowało istotnym statystycznie zmniejszeniem o 52% ryzyka progresji radiologicznej lub zgonu w porównaniu do kontroli: HR = 0,48 (95% CI: 0,39; 0,60), $p < 0,001$. Mediana PFS w grupie APA+ADT nie została osiągnięta, natomiast w grupie kontrolnej wyniosła 22,1 miesiące (95% CI: 18,5; 32,9). Odsetek 24-miesięcznego przeżycia wolnego od zdarzenia progresji choroby lub zgonu był wyższy w grupie APA+ADT w porównaniu do grupy PBO+ADT, odpowiednio 68,2% vs 47,5%.

. Leczenie apalutamidem vs. placebo (oba w skojarzeniu z ADT) prowadziło do istotnego statystycznie wydłużenia czasu do rozpoczęcia chemioterapii cytotoksycznej (TTIC) HR = 0,39 (95% CI: 0,27; 0,56), $p < 0,0001$. Mediany TTIC nie zostały osiągnięte w żadnej z grup, a 24-miesięczne TTIC wyniosło 91% vs 78%, odpowiednio dla APA+ADT vs PBO+ADT. Nie wykazano istotnych statystycznie różnic pomiędzy grupami APA+ADT vs PBO+ADT w ryzyku pogorszenia bólu: HR=0,83 (95% CI: 0,65; 1,05), $p=0,12$. Jakość życia pacjentów nie różniła się statystycznie znamiennej pomiędzy grupami.

Nie stwierdzono istotnych różnic między APA+ADT vs PBO+ADT w częstości występowania AEs ogółem (96,8% vs 96,6%), AEs 3 lub 4 stopnia (42,2% vs 40,8%), jak i ciężkich AEs (19,8% vs 20,3%). Do najczęstszych zdarzeń niepożądanych, bez względu na stopień ciężkości, należały (odpowiednio w grupie APA+ADT vs PBO+ADT): uderzenia gorąca (22,7% vs 16,3%), zmęczenie (19,7% vs 16,7%), nadciśnienie tętnicze (17,7% vs 15,6%), ból pleców (17,4% vs 19,4%). Istotnie częściej wystąpiły wysypki i niedoczynność tarczycy w grupie APA+ADT vs PBO+ADT.

Problem ekonomiczny

Oszacowany ICUR z perspektywy NFZ [redacted] dla porównania APA+ADT vs ADT wyniósł [redacted] progu opłacalności o którym mowa w ustawie o refundacji (155 514 zł).

Główne argumenty decyzji

1. Produkt leczniczy Erleada (apalutamid) jest terapią [redacted] niż uzyskany zysk, w stosunku do terapii deprivacji androgenowej.
2. Przewidywany [redacted] wydatków płatnika jest bardzo duży.
3. Lek refundowany jest [redacted], a 4 opinie międzynarodowych organizacji HTA są podzielone.

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 2021 r., poz. 523), 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.4231.21.2021 „Wniosek o objęcie refundacją leku Erleada (apalutamid) we wskazaniu: »Leczenie zaawansowanego raka gruczołu krokowego apalutamidem (ICD-10 C61)«”; data ukończenia: 27.05.2021 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia eksperta przedstawiona w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

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



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 69/2021 z dnia 7 czerwca 2021 roku

o projekcie programu „Program szczepień profilaktycznych przeciwko zakażeniom pneumokokowym dla mieszkańców Gminy Trzebowniko w wieku od 60 roku życia na lata 2021-2022”

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program szczepień profilaktycznych przeciwko zakażeniom pneumokokowym dla mieszkańców Gminy Trzebowniko w wieku od 60 roku życia na lata 2021-2022”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT oraz uwag Rady.

Uzasadnienie

*Przedmiotem opinii jest projekt programu polityki zdrowotnej z zakresu profilaktyki zakażeń wywołanych *Streptococcus pneumoniae*, szczególnie inwazyjnej choroby pneumokokowej IChP dla populacji osób w wieku powyżej 60 r.ż. z terenu gminy Trzebowniko (918 osób – ok. 20% populacji docelowej). Celem głównym programu jest zmniejszenie ryzyka zachorowania na choroby wywołane przez chorobę pneumokokową, poprzez przeprowadzenie skutecznych szczepień przeciwko pneumokokom u osób po 60 r.ż. zamieszkałych na terenie Gminy Trzebowniko, w latach 2021-2022.*

Organizacja Zdrowia (WHO – World Health Organization) umieściła infekcje pneumokokowe, obok malarii, na pierwszym miejscu listy chorób zakaźnych, których zwalczaniu oraz zapobieganiu należy nadać najwyższy priorytet. Zgodnie z Programem Szczepień Ochronnych na 2021 r, szczepienia przeciwko pneumokokom są zalecane m.in. w populacji osób dorosłych powyżej 50 r.ż.

Opiniowany projekt realizuje priorytet zdrowotny: „zwiększenie skuteczności zapobiegania chorobom zakaźnym i zakażeniom, w tym przeciwdziałanie skutkom nieprawidłowej antybiotykoterapii” określony w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 27 lutego 2018 r. (Dz.U. 2018 poz. 469).

Odnalezione dowody naukowe dot. szczepień przeciwko pneumokokom wskazują na ich skuteczność kliniczną. Odnalezione dowody naukowe potwierdzają skuteczność szczepionki PPSV23 w zapobieganiu IChP (wywołanej przez dowolne serotypy). Autorzy dwóch przeglądów systematycznych, tj. Falkenhorst 2017 oraz Moberley 2013 na podstawie wyników pochodzących



z metaanalizy RCTs skuteczność szczepionki PPSV23. Szczepienie osób starszych skoniugowaną 13-walentną szczepionką przeciwko pneumokokom zmniejszyło w ciągu 4 lat ryzyko zachorowania na pneumokokowe pozaszpitalne zapalenie płuc oraz IChP wywołanego przez typy serologiczne pneumokoka uwzględnione w szczepionce. Szczepienie nie było natomiast skuteczne w profilaktyce pozaszpitalnego zapalenia płuc, niezależnie od jego etiologii (Bonten 2015, badanie CAPITA). W rekomendacjach wskazuje się, że osoby starsze, które nie były wcześniej szczepione przeciwko pneumokokom powinny najpierw otrzymać szczepionkę PCV13, a co najmniej rok później szczepionkę PPSV23 (IAC 2017, SATS/FIDSSA 2017, ACIP 2015). Również inne rekomendacje (NZMoH 2018, STS 2016, ACS/NACI 2016, PHAC 2016) zalecają podanie w pierwszej kolejności szczepionki PCV13, a następnie PPSV23.

Uwagi do programu:

- 1) Wnioskodawca nie wskazał zakresu tematycznego materiałów edukacyjnych (brak wzorów) i treści edukacyjnych.*
- 2) Nie określono czasu trwania i częstotliwości edukacji, maksymalnej liczby uczestników.*
- 3) We wniosku nie wskazano rodzajów wsparcia informacyjnego dostarczanego przez poszczególnych członków zespołu dla pacjenta (nauczanie, instruowanie, ukierunkowywanie, wyjaśnianie). Efektywne nauczanie osób w starszym wieku to dostarczanie takiej liczby informacji jakiej potrzebuje jednostka, na każdym etapie budowania kompetencji zdrowotnych i przez personel, który jest najefektywniejszy w tym zakresie,*
- 4) W programie wskazano realizację PPZ przez pielęgniarki środowiskowe, podczas gdy obecnie w systemie, obok lekarza POZ, funkcjonują pielęgniarki POZ,*
- 5) Niezbędne jest skorygowanie budżetu programu, tak aby jego wysokość była spójna z kosztami planowanych interwencji.*

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48a 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.431.32.2021 „Program szczepień profilaktycznych przeciwko zakażeniom pneumokokowym dla mieszkańców Gminy Trzebowńsko w wieku od 60 roku życia na lata 2021-2022” realizowany przez: Gminę Trzebowńsko, Warszawa, czerwiec 2021 oraz Aneksem do raportów szczegółowych „Szczepienia przeciwko pneumokokom wśród osób starszych – wspólne podstawy oceny” z grudnia 2018 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 70/2021 z dnia 7 czerwca 2021 roku
w sprawie zasadności wprowadzenia dodatkowego zapisu
odnoszącego się do schematu dawkowania cetuksymabu
w programie lekowym B.52. „Leczenie raka płaskonabłonkowego
narządów głowy i szyi”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wprowadzenia dodatkowego zapisu odnoszącego się do schematu dawkowania cetuksymabu w programie lekowym B.52. „Leczenie raka płaskonabłonkowego narządów głowy i szyi” (wprowadzenie możliwości stosowania cetuksymabu – łącznie z chemioterapią – w dawce 500 mg/m² dożylnie co 2 tygodnie).

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Obecnie funkcjonujący zapis to: „Początkowa dawka cetuksymabu wynosi 400 mg/m² podawana dożylnie (czas trwania pierwszego wlewu – 120 minut). Kolejne dawki wynoszą 250 mg/m² podawane co 7 dni (czas trwania kolejnego wlewu – 60 minut)”. Proponowana zmiana dotyczy wprowadzenia możliwości stosowania cetuksymabu, łącznie z chemioterapią, w dawce 500 mg/m² dożylnie co 2 tygodnie bez dawki początkowej (wysycającej).

Dowody naukowe

Nie odnaleziono badań porównujących podawanie cetuksymabu w dawce 500 mg/m² co dwa tygodnie vs w dawce 250 mg/m² co tydzień (bez dawki początkowej), u pacjentów z rakiem płaskonabłonkowym narządów głowy i szyi (SCCHN).

Odnaleziono 2 publikacje pełnotekstowe, w których oceniano skuteczność i bezpieczeństwo leczenia pacjentów z rakiem płaskonabłonkowym narządów głowy i szyi cetuksymabem w dawce 500 mg/m²: (Surmeli 2019-badanie obejmujące 60 pacjentów, Alkan 2020 - opis przypadku). Wyniki badania Surmeli 2019 wskazują, że dwutygodniowy schemat z zastosowaniem cetuksymabu, cisplatyny i 5-FU jest skuteczną i tolerowaną opcją leczenia, o korzystnym profilu toksyczności u chorych z przerzutowym lub nawrotowym SCCHN. Autorzy publikacji wskazują, że wyniki te powinny zostać potwierdzone w badaniu prospektywnym. Do najczęściej występujących zdarzeń niepożądanych stopnia



3 lub 4 należały neutropenia, leukopenia, zmęczenie, gorączka neutropeniczna, anemia, zapalenie jamy ustnej, małopłytkowość, wysypka trądzikowa i zapalenie płuc

W żadnym z odnalezionych wytycznych (PTOK 2014, EHNS-ESMO-ESTRO 2020, NCCN 2021, NICE 2018). nie odniesiono się do stosowania cetuksymabu we wnioskowanym schemacie dawkowania. Jednocześnie, Amerykańska Agencja Żywności i Leków (FDA) w kwietniu 2021 r. zatwierdziła dodatkowy schemat dawkowania 500 mg/m² co dwa tygodnie dla cetuksymabu u pacjentów z mutacją KRAS typu dzikiego, rakiem jelita grubego (mCRC) z ekspresją EGFR lub rakiem płaskonabłonkowego głowy i szyi (SCCHN).

Zdaniem krajowych ekspertów wprowadzenie możliwości stosowania cetuksymabu w dawce 500 mg/m² co dwa tygodnie – wykorzystywanego łącznie z chemioterapią u chorych na nowotwory nabłonkowe narządów głowy i szyi (program lekowy B.52.) jest uzasadnione. Ekspert zwraca uwagę na to, że cetuksymab może już obecnie być stosowany co dwa tygodnie w programie lekowym B.4.

Problem ekonomiczny

Zgodnie z szacunkami AOTMiT liczba pacjentów kwalifikowanych do programu lekowego B.52 „Leczenie raka płaskonabłonkowego narządów głowy i szyi” wynosi 31 na rok. Zastosowanie schematu co 2 tygodnie pozwala uniknąć około 2 hospitalizacji miesięcznie na każdego leczonego chorego. Szacowana oszczędność dla budżetu płatnika publicznego (z wprowadzenia schematu 500 mg/m² co 2 tygodnie) wyniesie 181 059,84 zł.

Główne argumenty decyzji

Słabej jakości dowody naukowe dokumentują zadowalającą skuteczność i tolerancję proponowanego schematu leczenia u chorych z przerzutowym lub nawrotowym SCCHN. Znalazło to odzwierciedlenie w decyzjach FDA, która zatwierdziła schemat dawkowania cetuximaby 500 mg/m² co dwa tygodnie w leczeniu chorych z przerzutowym lub nawrotowym SCCHN. Wprowadzenie proponowanych zmian w zapisach programu lekowego nie wiąże się z dodatkowymi obciążeniami dla płatnika i jest pod względem organizacyjnym bardziej dogodny zarówno dla chorych jak i ośrodków leczących.

Dodatkowa uwaga Rady

Rada zwraca uwagę na to, że proponowana zmiana powinna dotyczyć wyłącznie części B programu B 52, tj. leczenia zaawansowanego raka płaskonabłonkowego narządów głowy i szyi z zastosowaniem cetuksymabu w skojarzeniu z chemioterapią opartą na pochodnych platyny. W części A programu B 52, która dotyczy leczenia płaskonabłonkowego raka narządów głowy i szyi w skojarzeniu z radioterapią w miejscowo zaawansowanej chorobie, dawkowanie cetuximabu

powinno pozostać zgodne z dotychczasowymi zapisami programu.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt. 4 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2020 r., poz. 1398 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby Rady Przejrzystości w sprawie oceny zasadności dalszej refundacji, braku podstaw do dalszej refundacji bądź zmiany zakresu refundacji, nr OT.4221.43.2021 „Opracowanie dotyczące oceny zasadności wprowadzenia zmian w zapisach programu lekowego B.52 „Leczenie raka płaskonabłonkowego narządów głowy i szyi ””, data ukończenia: 26.05.2021 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 71/2021 z dnia 7 czerwca 2021 roku

o projekcie programu „Program badań przesiewowych słuchu dla uczniów klas I szkół podstawowych z terenu powiatu bielskiego w roku szkolnym 2022/2023”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program badań przesiewowych słuchu dla uczniów klas I szkół podstawowych z terenu powiatu bielskiego w roku szkolnym 2022/2023”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady oraz uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

Opiniowany projekt wpisuje się w priorytet „tworzenie warunków sprzyjających utrzymaniu i poprawie zdrowia w środowisku nauki, pracy i zamieszkania”, wymieniony w rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 27 lutego 2018 roku.

Program zaplanowany został na lata 2022-2023 (pilotaż) z możliwością kontynuowania w latach kolejnych. Celem głównym programu jest „wykrycie zaburzeń słuchu u jak największej liczby dzieci, minimum 3% uczęszczających do klas pierwszych szkół podstawowych zlokalizowanych na terenie powiatu bielskiego w roku szkolnym 2022/2023”.

Populację docelową programu stanowią będą uczniowie klas I ze szkół podstawowych w powiecie bielskim. Populacja kwalifikująca się do programu wyniesie 1 600 dzieci. Zaplanowano również udział w działaniach edukacyjnych 1600 rodziców/opiekunów prawnych oraz około 69 wychowawców klas I.

Projekt zakłada:

- badanie słuchu metodą audiometrii tonalnej dla obu uszu (prowadzone przez pielęgniarkę lub protetyka słuchu z odpowiednim doświadczeniem), które pozwoli określić rodzaj i głębokość upośledzenia tego zmysłu, wraz z postawieniem diagnozy i omówieniem uzyskanego wyniku przez lekarza (specjalista lub w trakcie specjalizacji z audiologii i foniatrii, laryngologii, otolaryngologii lub otolaryngologii dziecięcej);*
- spotkania edukacyjno-informacyjne dotyczące profilaktyki wad słuchu w formie wykładów w postaci stacjonarnej lub zdalnej, kierowane do rodziców/opiekunów prawnych oraz do wychowawców klas pierwszych*



szkół podstawowych i nauczycieli nauczania wczesnoszkolnego, a dodatkowo przekazanie materiałów edukacyjno-informacyjnych (ulotki, plakaty).

Projekt przewiduje monitorowanie zgłaszalności do program, ocenę jakości świadczeń w oparciu o ankiety satysfakcji oraz ewaluację programu. Koszt jednostkowy programu wyniesie 107 zł (badanie audiometryczne – 40 zł, konsultacja lekarska – 50 zł, działania edukacyjno-informacyjne – 12 zł, monitorowanie i sprawozdawanie programu – 5 zł). Koszt całkowity został oszacowany na 172 028 zł.

Odnosząc się do założeń programu wskazać trzeba, że w świetle wytycznych podstawową populacją docelową w ramach badań przesiewowych w kierunku wad słuchu powinny być wszystkie dzieci w wieku od 4 do 7 lat (AAP 2021, ECS 2012, AAA 2011). Uczniowie mogą być poddawani badaniom okresowym także w późniejszym wieku: 8 i 10 lat (AAP 2021, AAA 2011) oraz 11 lat (ASHA 2016). Zgodnie z odnalezionymi wytycznymi audiometria tonalna to badanie pierwszego wyboru. Rekomenduje się stosowanie jej w populacji dzieci w wieku 3 lat i starszych (m.in. AAP 2009, AAA 2011). Badania z użyciem audiometrii tonalnej mogą zidentyfikować utratę słuchu u dzieci w wieku przedszkolnym i szkolnym (Prieve 2015) i są odpowiednim narzędziem do stosowania w badaniach przesiewowych (Bamford 2007). W rekomendacji ASHA 2016 wskazuje się, że każdy program przesiewowy z zakresu wad słuchu powinien zawierać część edukacyjną skierowaną do rodziców, gdzie zostaną poruszone kwestie dotyczące realizacji przesiewowego badania słuchu, prawdopodobieństwa wystąpienia ubytku słuchu u dzieci oraz dalszych procedur, jeżeli zaistnieje potrzeba ich wykonania.

Jednocześnie do projektu można zgłosić szereg uwag. Cel główny nie odnosi się bezpośrednio do efektu zdrowotnego. W celach szczegółowych dotyczących zwiększenia poziomu wiedzy rodziców/opiekunów prawnych oraz nauczycieli nie wskazano uzasadnienia dla przyjętych wartości docelowych. Nie zaplanowano przy tym przeprowadzenia pre- i post testów, które umożliwiłyby pomiar nabytej wiedzy. Projekt nie przedstawia niezbędnych szczegółów akcji edukacyjnej, w tym w zakresie długości i częstotliwości wykładów oraz kwalifikacji osób odpowiedzialnych za ich przeprowadzenie. Trzy z czterech założonych wskaźników nie spełniają funkcji mierników efektywności. Biorąc pod uwagę nieprawidłowe zaplanowanie wskaźników ewaluacyjnych kompleksowa ocena efektywności podjętych działań będzie więc utrudniona. Dodatkowo, nie poczyniono żadnych założeń wskazujących na sposób postępowania w przypadku uzyskania wyniku badania wskazującego na niedosłuch u dziecka (jak np. skierowanie do poradni specjalistycznej). Jest to istotny brak, który godzi w celowość prowadzenia programu i wymaga uzupełnienia.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48a 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.431.30.2021 „Program badań przesiewowych słuchu dla uczniów klas I szkół podstawowych z terenu powiatu bielskiego w roku szkolnym 2022/2023 realizowany przez: Powiat Bielski”, czerwiec 2021 oraz Aneksu do raportów szczegółowych: Badania przesiewowe słuchu u dzieci w wieku szkolnym – wspólne podstawy oceny” z września 2016 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 72/2021 z dnia 7 czerwca 2021 roku
o projekcie programu „Program profilaktyki nowotworu
gruczołu krokowego dla mężczyzn zamieszkałych
na terenie Gminy Drzewica w wieku 50-69 lat”

Rada Przejrzystości opiniuje negatywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki nowotworu gruczołu krokowego dla mężczyzn zamieszkałych na terenie Gminy Drzewica w wieku 50-69 lat”.

Uzasadnienie

Oceniany projekt programu skierowany jest do mężczyzn w wieku 50-69 lat, zamieszkałych na terenie gminy Drzewica. Wśród planowanych interwencji wyróżniono oznaczenie markera PSA w surowicy krwi i badania per rectum dla mężczyzn w wieku 55-69 lat oraz działania edukacyjne dla mężczyzn w wieku 50-69 lat. Proponowane w projekcie programu interwencje, poza działaniami edukacyjnymi, nie mają jednak uzasadnienia w dowodach naukowych i wytycznych klinicznych w odniesieniu do planowanej populacji mężczyzn.

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

Odnalezione rekomendacje wskazują, że prowadzenie badań przesiewowych w kierunku raka gruczołu krokowego w populacji bezobjawowych mężczyzn, nie ma uzasadnienia ze względu na małe korzyści płynące z przeprowadzonego badania i duże ryzyko występowania wyników fałszywie pozytywnych (PTOK 2013, UK NSC 2016, SEOM 2016, ESMO 2015, 2016, Prescire 2013, 2012, 2009, Cancer Council Australia i NHMRC 2016, RACGP 2016, CTFPHC 2014, ACP 2013,



NZGG 2013, USPSTF 2012, ICSI 2012, ACPM 2008). Rekomendacje (RACGP 2016) wskazują, że badanie per rectum nie jest już dłużej rekomendowanym badaniem, ze względu na niewystarczającą czułość w wykrywaniu raka prostaty na wczesnym etapie.

Wyniki odnalezionych przeglądów systematycznych: Tawfik 2015 i Lao 2015 wskazują dodatkowo, że populacyjne badania przesiewowe oparte na PSA wiążą się z dużymi kosztami przez co są nieefektywne kosztowo.

Ponadto, wskazać należy, że badanie PSA, a także USG brzucha i przestrzeni zaotrzewnowej, w tym wstępna ocena gruczołu krokowego są świadczeniami gwarantowanym dostępnymi w ramach POZ oraz AOS. Dodatkowo od 1 stycznia 2015 r. obowiązuje Pakiet Onkologiczny (PO). W ramach PO pacjenci z podejrzeniem nowotworu złośliwego są diagnozowani w ramach szybkiej terapii onkologicznej. Diagnostyka w ramach pakietu onkologicznego składa się z kilku etapów. Pierwszy z nich rozpoczyna się podczas wizyty pacjenta u lekarza POZ. Przeprowadza on dokładny wywiad z pacjentem i ocena jego dolegliwości, może również zlecić wykonanie niezbędnych badań. Pacjent, u którego lekarz POZ podejrzewa nowotwór złośliwy, otrzymuje kartę diagnostyki i leczenia onkologicznego, dzięki której szybko dostanie się do specjalisty. Za kolejne etapy diagnostyki: wstępną i – w przypadku potwierdzenia nowotworu złośliwego – pogłębioną jest odpowiedzialny lekarz AOS.

Oceniając projekt programu należy również zaznaczyć że:

- cel główny programu - nie odnosi się bezpośrednio do efektu zdrowotnego,
- cele szczegółowe programu – zostały sformułowane nieprawidłowo, a w żadnym z nich nie wskazano wartości docelowych,
- przyjęte mierniki efektywności - nie spełniają funkcji miernika efektywności oraz nie odnoszą się do celów programu,
- warunki realizacji programu dotyczące personelu, wyposażenia i warunków lokalowych – przedstawiono w sposób zdawkowy,
- przyjęty koszt jednostkowy – wydaje się być niedoszacowany w stosunku do cen rynkowych.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48a 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.431.33.2021 „Program profilaktyki nowotworu gruczołu krokowego dla mężczyzn zamieszkałych na terenie Gminy Drzewica w wieku 50-69 lat” realizowany przez: Miasto Drzewica, czerwiec 2021 oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy wczesnego wykrywania raka gruczołu krokowego – wspólne podstawy oceny”, grudzień 2018.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 73/2021 z dnia 7 czerwca 2021 roku

o projekcie programu „Wsparcie kobiet ciężarnych i matek dzieci z wrodzoną wadą rozwojową oraz ich rodzin pn. »OD-ŻYJ«”
(m. Wrocław)

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Wsparcie kobiet ciężarnych i matek dzieci z wrodzoną wadą rozwojową oraz ich rodzin pn. »OD-ŻYJ«” (m. Wrocław), pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.

Uzasadnienie

Projekt programu polityki zdrowotnej zaplanowany do realizacji przez miasto Wrocław, zakłada opiekę nad kobietą ciężarną z wrodzoną wadą płodu, dzieckiem z wrodzoną wadą rozwojową do 1 r.ż. i jego rodziną. Populację docelową programu stanowią będą kobiety ciężarne i matki dzieci z wrodzoną wadą rozwojową do 1 r.ż. oraz ich rodziny zamieszkujące miasto Wrocław. Program przewiduje objęcie opieką około 140 rodzin.

Wnioskodawca zaproponował cel główny w postaci „poprawy jakości życia kobiet w ciąży i matek dzieci z wrodzoną wadą rozwojową do 1 r.ż. oraz ich rodzin poprzez rozszerzenie dostępu do specjalistycznej edukacji zdrowotnej i wsparcia psychologicznego”. Zaplanowane działania obejmują m.in.: opiekę nad kobietą ciężarną z wrodzoną wadą płodu i jej rodziną oraz opiekę nad dzieckiem z wrodzoną wadą rozwojową do 1 r.ż. i jego rodziną, w tym konsultacje psychologów, lekarzy specjalistów i fizjoterapeutów oraz opiekę położniczą/pielęgniarską.

Projekt programu wpisuje się w następujący priorytet zdrowotny: „poprawa jakości i skuteczności opieki zdrowotnej nad matką, noworodkiem i dzieckiem do lat 3” należący do priorytetów zdrowotnych wymienionych w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dn. 27 lutego 2018 r. (Dz.U. z 2018 r., poz. 469).

Program ma być realizowany w latach 2022-2023. Planowane koszty całkowite na realizację programu zostały oszacowane na 250 000 zł rocznie. Program ma być finansowany z budżetu miasta Wrocław.

Rada opiniuje program pozytywnie zwraca jednak uwagę, że w polskim systemie ochrony zdrowia funkcjonuje świadczenie pn. dziecięcej opieki koordynowanej



(DOK; Zarządzenie Nr 30/2018/DSOZ Prezesa NFZ z dn. 30 marca 2018 r.), które obejmuje zintegrowaną opiekę neonatologiczną, wielospecjalistyczną opiekę pediatryczną oraz programy rehabilitacyjne. Jest ono skierowane do dzieci do ukończenia 3 r. ż, u których zdiagnozowano ciężkie i nieodwracalne upośledzenie albo nieuleczalną chorobę zagrażającą ich życiu, które powstały w prenatalnym okresie rozwoju dziecka lub w czasie porodu. Zgodnie z danymi NFZ, na terenie Wrocławia świadczenia z zakresu DOK udzielane są przez 1 podmiot.

Wnioskodawca powinien uwzględnić możliwość skorzystania z niniejszego świadczenia (DOK) uczestniczkom PPZ, tak aby środki przewidziane na opiekę w programie polityki zdrowotnej mogły zostać właściwie wykorzystane na świadczenia niefinansowane lub finansowane w DOK/PPZ w zakresie niewystarczającym. Rada zwraca uwagę, że w programie przewidziano np. tylko 2 godziny opiekę położniczą/pielęgniarską i należy rozważyć elastyczne finansowanie poszczególnych przewidzianych w nim interwencji, zależnie od indywidualnych potrzeb oraz możliwości finansowania innych w ramach DOK lub innych świadczeń realizowanych przez płatnika publicznego.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48a 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.431.31.2021 „Wsparcie kobiet ciężarnych i matek dzieci z wrodzoną wadą rozwojową oraz ich rodzin pn. „OD-ŻYJ” realizowany przez: Miasto Wrocław, Warszawa, czerwiec 2021 oraz Aneksów: „Programy z zakresu opieki nad kobietą ciężarną i w położeniu ze szczególnym uwzględnieniem edukacji przedporodowej (szkoły rodzenia) – wspólne podstawy oceny” z czerwca 2021 r. oraz „Programy z zakresu kompleksowej terapii i rehabilitacji niepełnosprawnych dzieci i młodzieży – wspólne podstawy oceny” z lipca 2016 r., Raportem AOTMiT nr OT.423.7.2018 ze stycznia 2020 r. dot. Profilaktyki i wczesnego wykrywania depresji poporodowej, a także Raportem AOTMiT nr OT.441.323.2017 z listopada 2017 r. dot. „Zdrowe dziecko – zdrowa rodzina” Program wyrównywania szans rozwojowych dzieci od 0 do 2 lat zagrożonych niepełnosprawnością z przyczyn przed- i okołoporodowych w województwie kujawsko-pomorskim”.