



Rada Przejrzystości
działająca przy
Prezisie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

BP.401.31.2021.LAn

Protokół nr 29/2021
z posiedzenia Rady Przejrzystości
w dniu 12 lipca 2021 roku
w formie wideokonferencji

Michał Myśliwiec otworzył posiedzenie o godzinie 10:01.

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

1. Maciej Karaszewski
2. Dorota Kilańska
3. Tomasz Młynarski
4. Michał Myśliwiec
5. Jakub Pawlikowski
6. Tomasz Romańczyk
7. Piotr Szymański

Członkowie Rady nieobecni na posiedzeniu:

1. Anna Cieślik

Proponowany porządek obrad:

1. Ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego Cycloserine Capsules (cycloserinum) we wskazaniach: gruźlica płuc wielolekooporna, mykobakterioza płuc.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego Plaquenil (hydroxychloroquine) we wskazaniach: toczeń rumieniowaty układowy, toczeń rumieniowaty krążkowy, podostry toczeń rumieniowaty skórny, nieodróżniona choroba tkanki łącznej, mieszana choroba tkanki łącznej, rumień guzowaty, ziarniniak obrączkowy, reumatoidalne zapalenie stawów, liszaj płaski mieszkowy, zespół Sjögrena, układowe zapalenie naczyń.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego Lamprene (clofaziminum) we wskazaniach: gruźlica płuc wielolekooporna, mykobakterioza płuc.
5. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego Proglidem (diazoxidum) we wskazaniach: insulinoma, hipoglikemia hiperinsulinemiczna, hiperinsulinizm wrodzony, hipoglikemia nieokreślona, zespół hipoglikemia – hiperamonemia, zespół MEN2, zespół Beckwitha-Wiedemanna, inne hipoglikemie.



6. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Gminny program polityki zdrowotnej w zakresie profilaktyki zakażeń meningokokowych wśród dzieci w oparciu o szczepienia przeciwko meningokokom z grupy A, C, W-135, Y w Gminie Suszec”.

7. Zakończenie posiedzenia.

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

Rada jednogłośnie przyjęła zaproponowany porządek obrad.

Na posiedzenie dołączył Adam Maciejczyk, który nie zadeklarował występowania konfliktu interesów.

Ad 2. Analityk Agencji zaprezentował informacje dot. leku Cycloserine Capsules (import docelowy) we wskazaniach dot. gruźlicy i mykobakteriozy płuc.

Na posiedzenie dołączył Rafał Niżankowski, który nie zadeklarował występowania konfliktu interesów.

Propozycję stanowiska Rady przedstawił Tomasz Romańczyk.

Głos zabrał Maciej Karaszewski, a Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła stanowisko (załącznik nr 1 do protokołu).

Ad 3. Analityk Agencji przedstawił dane odnoszące się do leku Plaquenil (import docelowy) w wielu wskazaniach, a propozycję stanowiska Rady przedstawił Maciej Karaszewski.

Głos zabrali Michał Myśliwiec i Maciej Karaszewski, po czym Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 2 do protokołu).

Ad 4. Analityk Agencji zaprezentował informacje o leku Lamprene (import docelowy) we wskazaniach dot. gruźlicy i mykobakteriozy płuc, a propozycję stanowiska Rady przedstawił Adam Maciejczyk.

Wobec braku głosów w dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 3 do protokołu).

Ad 5. Analityk Agencji omówił dane z raportu dot. leku Proglicem (import docelowy) w wielu wskazaniach, a propozycję stanowiska Rady przedstawił Jakub Pawlikowski.

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

Ad 6. Analityk Agencji przedstawił szczegóły programu polityki zdrowotnej gm. Suszec w zakresie profilaktyki zakażeń meningokokowych, a propozycję opinii przedstawił Tomasz Młynarski.

Wobec braku głosów w dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 5 do protokołu).

Ad 7. Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 11:06.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 89/2021 z dnia 12 lipca 2021 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku
Cycloserine Capsules (cycloserinum) w różnych wskazaniach

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację produktu leczniczego Cycloserine Capsules (cycloserinum), kapsułki 250 mg, we wskazaniu: gruźlica płuc wielolekooporna.

Jednocześnie Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne wydawanie zgód na refundację produktu leczniczego Cycloserine Capsules (cycloserinum), kapsułki 250 mg, we wskazaniu: mykobakterioza płuc.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Zgodnie z danymi w 2019 roku, zarejestrowano 5 321 (5 487) zachorowań na gruźlicę, co oznacza 166 przypadków gruźlicy mniej niż w roku poprzednim i 2 188 przypadków mniej w porównaniu z rokiem 2010. Zapadalność na gruźlicę wszystkich postaci w 2019 roku wynosiła 13,9 (14,3) i była mniejsza o 2,8% w porównaniu z rokiem 2018 oraz o 29,4% w porównaniu z rokiem 2010, w którym wynosiła 19,7.

W 2019 roku wśród chorych w Polsce wykryto 41 przypadków wielolekoopornej gruźlicy (MDR-TB), którzy stanowili 1,1% chorych na gruźlicę z dostępnymi wynikami lekowrażliwości prątków (lekowrażliwość znana u 91% chorych na gruźlicę potwierdzoną bakteriologicznie). Tylko w 6 krajach UE/EOG odsetki MDR-TB były w 2019 roku mniejsze niż w Polsce.

Dowody naukowe

Wszystkie odnalezione dokumenty rekomendują stosowanie cykloseryny w MDR-TB.

Dokument ERS/ECDC 2018, zgodnie z wytycznymi AHO z 2016, zaleca stosowanie cykloseryny z możliwym zamiennym stosowaniem analogu – teryzydenu – jako leków z grupy C, w drugiej linii leczenia, na równi z linezolidem, klofazyminą oraz etionamidem/protionamidem. Podobne są rekomendacje ATS/CDC/ERS/IDSA z 2020 (zalecenia warunkowe, bardzo niska pewność dowodów) . Polecane jest stosowanie klofazyminy, linezolidu, cykloseryny, etambutolu, pirazynamidu, amikacyny lub streptomycyny i karbapenemów.



Natomiast rekomendowane (silne zalecenie, niska pewność dowodów) są lewofloksacyna lub moksyfloksacyna i bedakilina. Również w wytycznych WHO, zaktualizowanych w 2020 r., eksperci wyszczególnili, iż u pacjentów z MDR/RR-TB, stosujących dłuższe schematy leczenia, należy uwzględnić wszystkie trzy leki z grupy A (lewofloksacyna lub moksyfloksacyna, bedakilina i linezolid) i co najmniej jeden lek z grupy B (klofazymina i cykloseryna lub teryzyd).

Dostępne jest też pierwotne badanie Court 2021 – pierwsze na świecie, duże, prospektywne badanie podłużne opisujące związek ekspozycji na cykloserynę z toksycznością neuropsychiatryczną u pacjentów leczonych z powodu MDR-TB oraz trzy przeglądy systematyczne z metaanalizą. W badaniu Bostos 2017 (dane pochodzące od łącznie 7 506 pacjentów z MDR-TB, wśród których u 2 462 zastosowano leczenie standardowe, u 5 044 program leczenia zindywidualizowanego) uzyskano 93% (95%CI 89; 96) skuteczności dla parametru sukces/sukces+porażka+nawrót oraz 78% (95%CI 71; 86) skuteczności dla parametru sukces/sukces+porażka+nawrót+śmierć u pacjentów w kohortach, w których $\geq 91\%$ przyjmowało cykloserynę. W badaniu Nafees 2018, u pacjentów ze szczepami wrażliwymi uzyskano OR dopasowany dla sukcesu terapeutycznego 1,5 (1,4; 1,7, istotny statystycznie).

Wytyczne ATS/ERS/ESCMID/IDSA 2020, dotyczące mykobakteriozy płuc, wyróżniają klofazyminę wraz z moksyfloksacyną, linezolidem i w przypadku niektórych ekspertów bedakilinę lub tedyzolid, jako leki alternatywne dla pacjentów, którzy nie tolerują lub którzy są oporni na leki w pierwszej linii leczenia (azytromycyna, klarytromycyna, ryfabutyna, etambutol, izoniazyd, amikacyna). W wytycznych nie odniesiono się do stosowania analizowanej technologii tj. cykloseryny w leczeniu mykobakteriozy płuc.

Nie odnaleziono żadnego dowodu naukowego, w którym wykazano skuteczność i lub bezpieczeństwo stosowania cykloseryny w mykobakteriozach płuc. W odnalezionych wytycznych klinicznych nie odniesiono się do stosowania analizowanej technologii tj. cykloseryny w leczeniu mykobakteriozy płuc.

Problem ekonomiczny

Na podstawie danych zawartych w Systemie Obsługi Importu Docelowego (SOID), wydano 22 zgody na import cykloseryny u 13 pacjentów z rozpoznaniem wielolekoopornej gruźlicy płuc, na łączną kwotę 40,2 tys PLN (100 opakowań) oraz 1 zgodę na 1 opakowanie leku w rozpoznaniu mykobakterioza płuc.

Zdaniem ekspertów finansowanie cykloseryny ze środków publicznych jest uzasadnione, ponieważ w przypadku wielolekoopornej gruźlicy jest to zgodnie z zaleceniami WHO i PTChP. Jednocześnie jeden z ekspertów opowiedział się przeciw finansowaniu ze środków publicznych leczenia cykloseryną mykobakterioz.

Główne argumenty decyzji

Zdaniem ekspertów, finansowanie cykloseryny ze środków publicznych jest uzasadnione, ponieważ w przypadku wielolekoopornej gruźlicy jest to zgodnie z zaleceniami towarzystw międzynarodowych, w tym WHO oraz PTChP.

Leczenie to również okazało się skuteczne klinicznie w dostępnych aktualnych badaniach naukowych.

Nie odnaleziono żadnego dowodu naukowego, w którym wykazano skuteczność i lub bezpieczeństwo stosowania cykloseryny w mykobakteriozach płuc.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust. 2 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2020 r., poz. 1398) oraz w zw. z art. 39 ust. 3 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 523), z uwzględnieniem opracowania nr: OT.4211.22.2021 „Cycloserine Capsules (cykloseryna) we wskazaniach: gruźlica płuc wielolekooporna, mykobakterioza płuc”, data ukończenia: 7.07.2021 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 90/2021 z dnia 12 lipca 2021 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku
Plaquenil (hydroxychloroquine) w różnych wskazaniach

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację produktu leczniczego Plaquenil (hydroxychloroquine), tabletki 200 mg, we wskazaniach: toczeń rumieniowaty układowy, toczeń rumieniowaty krążkowy, podostry toczeń rumieniowaty skórny, niezróżnicowana choroba tkanki łącznej, mieszana choroba tkanki łącznej, rumień guzowaty, ziarniniak obrączkowy, reumatoidalne zapalenie stawów, liszaj płaski mieszkowy, zespół Sjögrena, układowe zapalenie naczyń.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Niniejsze stanowisko dotyczy wydawania zgód na import docelowego leku: Plaquenil (hydroksychlorochina), we wskazaniach obejmujących grupę chorób autoimmunologicznych, takich jak: toczeń rumieniowaty układowy, toczeń rumieniowaty krążkowy, podostry toczeń rumieniowaty skórny, niezróżnicowana choroba tkanki łącznej, mieszana choroba tkanki łącznej, rumień guzowaty, ziarniniak obrączkowy, reumatoidalne zapalenie stawów, liszaj płaski mieszkowy, zespół Sjögrena, układowe zapalenie naczyń.

Rada Przejrzystości i Prezes Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w 2018 r. wydali pozytywne rekomendacje w sprawie zasadności wydania zgód na refundację w ramach importu docelowego hydroksychlorochiny w powyższych wskazaniach. Aktualna opinia dotyczy aktualizacji i ponownej oceny tej technologii w tych wskazaniach.

Dowody naukowe

Toczeń rumieniowaty: układowy, krążkowy, podostry skórny

Guillotin 2018 - u kobiet w ciąży z SLA terapia hydroksychlorochiną nie wpływa na zwiększenie częstość przedwczesnych urodzeń, poronień oraz wewnątrzmacicznego zahamowania wzrostu.

Duan 2021 - nie wykazano IS różnic między grupą stosującą hydroksychlorochinę, a grupą kontrolną, niestosującą tego leczenia, w częstości występowania: zespołu HELLP, cukrzycy ciężwej, incydentów zakrzepowych, samoistnych



poronień, przedwczesnego pęknięcia błon płodowych, małowodzia, urodzeń żywych, urodzeń martwego dziecka, wad wrodzonych płodu, małej masy urodzeniowej, zaburzeń wewnątrzmacicznych, wewnątrzmacicznego zahamowania wzrostu oraz 5-minutowego wyniku w skali APGAR <7 pkt.. W grupie stosującej hydroksychlorochinę odnotowano natomiast IS niższą szansę urodzenia przedwcześnie, wystąpienia stanu przedzucawkowego i nadciśnienia, niż w grupie kontrolnej.

Tao 2019 - stosowanie hydroksychlorochiny, u pacjentów z toczniem rumieniowatym układowym wiąże się z IS niższym stężeniem w surowicy krwi cholesterolu całkowitego, triglicerydów, cholesterolu frakcji lipoprotein o niskiej gęstości i o bardzo małej gęstości. Nie wykazano natomiast IS różnic między grupami w stężeniu frakcji lipoprotein o wysokiej gęstości. W dwóch badaniach obserwacyjnych odnotowano korzystny wpływ terapii hydroksychlorochiną u pacjentów z SLE na IS zmniejszenie częstości napadów padaczkowych oraz na IS wydłużenie czasu do pojawienia się uszkodzeń neuropsychiatrycznych.

Toczeń rumieniowaty skórny (w tym m.in. typ podostry i krążkowy)

Wyniki przeglądów wskazują na korzystny wpływ terapii hydroksychlorochiną na poprawę objawów skórnych u pacjentów z toczniem rumieniowatym skóry (w tym z postacią podostrą oraz toczniem rumieniowatym krążkowym). U pacjentów zdarzenia niepożądane występowały rzadko, u jednego pacjenta odnotowano wystąpienie retinopatii.

Nie różnicowana choroba tkanki łącznej

Odnaleziono 2 opisy (Rauf 2019 oraz Gu 2018) przypadków pacjentów z rozpoznaną nie różnicowaną chorobą tkanki łącznej oraz chorobami współistniejącymi. U pacjentów zastosowano terapię opartą na hydroksychlorochinie, leczenie doprowadziło do poprawy stanu jednego pacjenta. Drugi pacjent po trzy miesięcznej terapii nie uzyskał poprawy.

Mieszana choroba tkanki łącznej

Odnaleziono 2 opisy (Papageorgiou 2020 oraz Hao 2018) przypadków pacjentów ze zdiagnozowaną mieszaną chorobą tkanki łącznej. Pierwszy pacjent był od 5 miesięcy skutecznie leczony hydroksychlorochiną. U drugiego zastosowano terapię złożoną: mała dawka dożylna metyloprednizolonu (dawka 40mg/dobę) i siarczanu hydroksychlorochiny (dawka 400 mg/dobę). Po miesiącu leczenia objawy choroby uległy znacznej poprawie.

Rumień guzowaty

Jeden opis przypadku (Zheng 2020) przypadku pacjentki z licznymi głębokimi ropnymi owrzodzeniami o nieregularnych brzegach, otoczonymi rumieniem. Stwierdzono również obecność rumieni guzowatych na lewej nodze i brzuchu. U pacjentki rozpoczęto terapię steroidami ogólnoustrojowymi, z powodu choroby Leśniowskiego-Crohna i hydroksychlorochiną, z powodu

wyniszczającego toczniowego zapalenia tkanki podskórnej. Odnotowano ustąpienie wszystkich zmian skórnych. Próba odstawienia hydroksychlorochiny rok później spowodowała nawrót objawów skórnych z towarzyszącymi bólami wielostawowymi, które po wznowieniu leczenia ustąpiły.

Ziarniniak obrączkowaty

Nie odnaleziono nowych dowodów dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa hydroksychlorochiny w leczeniu ziarniniaka obrączkowatego. W przeglądzie systematycznym Lukacs 2015 przedstawiono opis 16 pacjentów, w tym 6 dzieci ze zdiagnozowanym ziarniniakiem obrączkowatym. Po zastosowaniu terapii hydroksychlorochiną odnotowano poprawę objawów u wszystkich pacjentów. W czasie leczenia nie wystąpiły zdarzenia niepożądane. W badaniu retrospektywnym Grewal 2017 analizowano 35 pacjentów z potwierdzonym histologicznie ziarniniakiem obrączkowatym, 18 z 35 włączonych pacjentów było leczonych hydroksychlorochiną. U 10/18 (55,6%) pacjentów odnotowano poprawę stanu zdrowia.

Liszaj płaski mieszkowaty

Maldonado Cid 2020: leczenie hydroksychlorochiną zastosowano u 5 pacjentów z łysieniem czołowym włókniejącym, u wszystkich odnotowano stabilizację choroby (zatrzymanie wypadania włosów), żaden pacjent nie przerwał terapii z powodu zdarzeń niepożądanych.

Starace 2020: analizowano 40 pacjentów z rozpoznaniem liszajem płaskim, wypadaniem włosów oraz obecnością swędzenia/pieczenia skóry głowy. U 11/12 (92%) pacjentów po 7-12 miesiącach terapii hydroksychlorochiną stwierdzono zatrzymanie wypadania włosów, u jednego pacjenta odnotowano postępującą wolno progresję choroby, pacjent pozostawał nadal leczony.

Zhang 2020: analizowano 29 pacjentów ze zdiagnozowanym łysieniem czołowym włókniejącym. U 16/29 (55%) pacjentów zastosowano terapię hydroksychlorochiną, z czego u 10/16 (63%) odnotowano odpowiedź na leczenie (jeden pacjent zgłosił stabilizację choroby z odrostem włosów, a 9 (56%) pacjentów zatrzymanie wypadania włosów).

Zespół Sjögrena

Brito-Zeron 2019: we włączonych 2 badaniach RCT wykazano brak IS różnic między grupą hydroksychlorochiną, a placebo; w $\geq 30\%$ zmniejszeniu 2 z 3 wyników w skali VAS (suchość w jamie ustnej, zmęczenie, ból), zmniejszeniu bólu po 24 tyg. terapii oraz suchości oka po 12 tygodniach terapii. W badaniach kliniczno-kontrolnych wykazano po 12 tyg. terapii hydroksychlorochiną IS poprawę w zakresie 4 z 8 punktów końcowych dotyczących oczu w porównaniu do stanu wyjściowego oraz po 30 tyg. leczenia IS poprawę wskaźnika uSF (ang. unstimulated salivary flow rate, niestymulowany przepływ śliny) względem wartości początkowej, nie uzyskano natomiast IS poprawy wskaźnika sSFR

(ang. *stimulated salivary flow rate*, stymulowany przepływ śliny). Tylko w 2 z 5 ocenianych punktów stwierdzono IS poprawę wyników w skali VAS dotyczących jamy ustnej względem wartości początkowej. W żadnym z badań nie zgłoszono przypadku działań toksycznego HCQ na siatkówkę ani ciężkich zdarzeń niepożądanych.

Układowe zapalenie naczyń

Kolkhir 2019: w 7 z 31 badań (23%) odnotowano u 38/97 (39%) pacjentów skuteczny wpływ terapii hydroxychlorochiną na poprawę objawów skórnych pokrzywkowego zapalenia naczyń (okres leczenia w badaniach od roku do 2 lat). U 10% pacjentów odnotowano całkowitą odpowiedź na leczenie, u 29% odpowiedź częściową, a u 61% brak efektów leczenia.

Casian 2018: przedstawiono 8 opisów przypadków, w których po zastosowaniu hydroxychlorochiną wszystkich pacjentów odnotowano poprawę objawów, w tym ustąpienie wysypki, bólów stawów, zmniejszenie zapalenia naczyń.

Reumatoidalne zapalenie stawów

Rempenault 2020: przedstawiono wyniki otwartego badania kliniczno-kontrolnego Alam 2012, w którym porównano terapię metotreksatem (MTX) (n=30) z hydroxychlorochiną (n=30), - odnotowano spadek aktywności choroby wg DAS28 w obu grupach po 6 miesiącach leczenia, jednak IS lepsza odpowiedź kliniczna została odnotowana w grupie metotreksatu. Nie wykazano różnicy w częstości występowania zdarzeń niepożądanych między dwiema grupami.

Gossen 2016 - wykazano, że pacjenci w grupie hydroxychlorochina, IS rzadziej przyjmowali leki biologiczne, w ciągu 5 lat obserwacji, w porównaniu z pacjentami otrzymującymi metotreksat.

Metaanaliza Xie 2020: na podstawie 11 badań, wykazała że leczenie hydroxychlorochiną, u pacjentów z RZS było IS związane z redukcją ryzyka cukrzycy (istotnie statystycznie mniejsze ryzyko cukrzycy stwierdzono u pacjentów przyjmujących hydroxychlorochinę przez 2–4 lub 4 lata, przy braku IS zmniejszeniu ryzyka u pacjentów poddanych terapii hydroxychlorochiną przez rok).

Większość odnalezionych rekomendacji, podobnie jak w poprzednim raporcie z 2018 roku, zaleca stosowanie hydroksychlorochiny we wnioskowanych wskazaniach. Jedynie odnalezione francuskie wytyczne GFEV 2020, dotyczące leczenia martwiczej postaci układowego zapalenia naczyń, wytyczne BAD/BPG 2019 dotyczące leczenia ziarniniaka obrączkowego oraz brytyjskie BAD 2021, dotyczące leczenia rumienia guzowatego, nie brały pod uwagę tej substancji. Rekomendacje EULAR 2019, dotyczące terapii toczenia rumieniowatego układowego zalecają stosowanie hydroksychlorochiny, jako leku I rzutu. Wytyczne Polskiego Towarzystwa Dermatologicznego z 2018 dotyczące leczenia

tocznia rumieniowatego krążkowego zalecają stosowanie hydroksychlorochiny jako leku pierwszego wyboru w tym wskazaniu.

Wg PTD 2018 terapia ogólna lekami przeciwmalarycznymi (w tym hydroksychlorochina) jest również skuteczna we wszystkich skórnych postaciach tocznia rumieniowatego. Odnalezione wytyczne, dotyczące leczenia reumatoidalnego zapalenia stawów (EULAR 2019 i NICE 2020), wskazują, iż obecnie leczenie pierwszego rzutu obejmuje przede wszystkim klasyczne leki modyfikujące przebieg choroby (csDMARDs). Lekiem pierwszego wyboru jest metotreksat, natomiast wg NICE w przypadku choroby palindromicznej lub o łagodnym przebiegu można zastosować hydroksychlorochinę. Zgodnie z europejskimi wytycznymi EAD/EDF 2020 hydroksychlorochina jest również wymieniana jako lek pierwszego rzutu w lizaju płaskim mieszkowym. Podobnie w przypadku leczenia zespołu Sjögrena, wytyczne EULAR 2020 wymieniają ten lek jako opcję terapeutyczną, obok glikokortykosteroidów, leków immunosupresyjnych, dożylnych immunoglobulin oraz leków biologicznych. Wytyczne te nie rekomendują hydroksychlorochiny w przypadku suchości jamy ustnej lub suchości oka.

Problem ekonomiczny

W 2020 roku wydano zgodę na refundację we wszystkich ocenianych wskazaniach dla 120 pacjentów, na łączną kwotę 50 541 zł netto, tym samym wpływ na budżet płatnika jest minimalny.

Główne argumenty decyzji

- 1. Badania naukowe, wytyczne i doświadczenie kliniczne wskazują hydroksychlorochinę jako skuteczną i bezpieczną opcję terapeutyczną we wszystkich wnioskowanych wskazaniach.*
- 2. Minimalny wpływ na budżet płatnika.*

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust. 2 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2020 r., poz. 1398) oraz w zw. z art. 39 ust. 3 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 523), z uwzględnieniem opracowania nr: OT.4211.19.2021 „Plaquenil (hydroksychlorochina) we wskazaniach: toczeń rumieniowaty układowy, toczeń rumieniowaty krążkowy, podostry toczeń rumieniowaty skórny, niezróżnicowana choroba tkanki łącznej, mieszana choroba tkanki łącznej, rumień guzowaty, ziarniniak obrączkowaty, reumatoidalne zapalenie stawów, lizaj płaski mieszkowy, zespół Sjögrena, układowe zapalenie naczyń”, data ukończenia: 07.07.2021 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 91/2021 z dnia 12 lipca 2021 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku
Lamprene (clofaziminum) w różnych wskazaniach

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację produktu leczniczego Lamprene (clofaziminum), kapsułki 100mg, we wskazaniach: gruźlica płuc wielolekooporna, mykobakterioza płuc.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Minister Zdrowia zlecił zbadanie zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego: Lamprene (clofaziminum) we wskazaniach: gruźlica płuc wielolekooporna, mykobakterioza płuc.

Wskazany produkt sprowadzany jest z zagranicy w oparciu o art. 4 ustawy z dnia 6 września 2001 r. Prawo farmaceutyczne (Dz.U. z 2020 r. poz. 944, z późn. zm.).

Rada Przejrzystości wydała w 2018 roku pozytywne stanowisko (Stanowisko nr 47/2018 z dnia 7 maja 2018 r.) dla produktu leczniczego Lamprene (clofaziminum) we wskazaniu: gruźlica płuc wielolekooporna. Jednocześnie, Rada Przejrzystości uznała za niezasadne wydawanie zgód na refundację ww. leku we wskazaniach: mykobakterioza płuc oraz mykobakterioza dróg rodnych.

Prezes Agencji zarekomendował (Rekomendacja Prezesa nr 46/2018 z dnia 16 maja 2018 r.) wydawanie zgody na refundację ww. produktu leczniczego we wskazaniu: gruźlica płuc wielolekooporna, natomiast nie rekomendował wydawania zgody na refundację ww. leku we wskazaniach: mykobakterioza płuc i mykobakterioza dróg rodnych.

Zlecenie MZ obejmuje aktualizacji danych na temat zasadności stosowania klofazyminy w gruźlicy płuc wielolekoopornej (MDR-TB) i mykobakteriozie płuc.

Dowody naukowe

Odnaleziono 3 rekomendacje dotyczące leczenia gruźlicy płuc wielolekoopornej (ERS/ECDC 2018, ATS/CDC/ERS/IDSA 2019, WHO 2020) oraz jedną rekomendację dotyczącą leczenia mykobakteriozy płuc (ATS/ERS/ESCMID/IDSA 2020).

Wszystkie rekomendacje dotyczące leczenia MDR-TB wskazują na możliwość stosowania klofazyminy jako jednej z opcji terapeutycznych.



Wytyczne ATS/ERS/ESCMID/IDSA 2020 dotyczące leczenia mykobakteriozy płuc wyróżniają klofazyminę wraz z moksyfloksacyną, linezolidem i w przypadku niektórych ekspertów bedakilinę lub tedyzolid, jako leki alternatywne dla pacjentów, którzy nie tolerują lub którzy są oporni na leki stosowane w pierwszej linii leczenia (azytromycyna, klarytromycyna, ryfampicyna, ryfabutyna, etambutol, izoniazyd, amikacyna). Dodatkowo klofazymina jest wymieniana jako jeden z możliwych składowych schematów preferowanych w leczeniu zakażeń *M. abscessus* wyróżnionych na podstawie wrażliwości na makrolidy.

Wskazanie dowodów naukowych

W ramach przeprowadzonej analizy zastosowania klofazyminy odnaleziono trzy przeglądy systematyczne z metaanalizą dot. leczenia gruźlicy wielolekoopornej: Lan 2020, Ahmad 2019 i Harausz 2018 (dot. populacji pediatrycznej) oraz dwa przeglądy systematyczne z metaanalizą, w których przedstawiono wyniki leczenia pacjentów z rozpoznaniem choroby płuc wywołanej *Mycobacterium avium complex* (Nasiri 2021 i Nasiri 2020).

Odnaleziono także trzy badania RCT porównujące skuteczność i bezpieczeństwo dodania klofazyminy do standardowych schematów stosowanych w leczeniu gruźlicy wielolekoopornej Du 2020 (MDR-TB), Duan 2019 (MDR-TB) oraz Wang 2018 (XDR-TB).

Gruźlica płuc wielolekooporna

Przegląd systematyczny Lan 2020 oparto na bazie z danymi indywidualnych pacjentów, powstała w 2016 roku. Wynikibrane pod uwagę dotyczyły zdarzeń niepożądanych prowadzących do trwałego odstawienia leku przeciwgruźliczego. Łącznie w analizie uwzględniono dane 8 622 pacjentów. Stosując trzy różne podejścia analityczne, wykazano, że klofazymina jest jednym z trzech leków (obok fluorochinolonów późniejszej generacji i bedakiliny) z najniższą częstością przerwania leczenia z powodu wystąpienia zdarzeń niepożądanych.

Przegląd systematyczny z metaanalizą Ahmad 2019 miał na celu ocenę związku powodzenia leczenia i zgonu z zastosowaniem poszczególnych leków oraz optymalnej liczby i czasu trwania terapii u pacjentów z gruźlicą wielolekooporną. Do przeglądu włączono 50 badań, ogółem dane 12 030 pacjentów. W całej grupie pacjentów zastosowanie klofazyminy wiązało się ze znaczną poprawą skuteczności leczenia, ale nie zmniejszeniem liczby zgonów, natomiast u pacjentów z XDR-TB stosowanie klofazyminy było związane z niższą śmiertelnością.

Odnaleziono także trzy randomizowane badania przeprowadzone w Chinach (Du 2020, Duan 2019 oraz Wang 2018). W badaniach Du 2020 oraz Duan 2019 populacją byli pacjenci z MDR-TB, natomiast badanie Wang 2018 objęło pacjentów z potwierdzonym XDR-TB. Korzystny wynik, definiowany jako wyleczenie i/lub zakończenie leczenia, osiągnęło 68,7% pacjentów

stosujących klofazyminę w badaniu Du 2020, 65,1% w badaniu Duan 2019 oraz 36,4% w badaniu Wang 2018 w porównaniu do grupy kontrolnej, w której korzystny wynik osiągnęło odpowiednio 64,7%, 47,3% oraz 44,4%. Tylko w badaniu Duan 2019 różnica pomiędzy grupami była istotna statystycznie ($p=0,034$). W przypadku zdarzeń niepożądanych, we wszystkich badaniach odnotowywano występowanie przebarwień skóry w grupie klofazyminy istotnie statystycznie częściej niż w grupie kontrolnej. Różnice w częstości występowania pozostałych zdarzeń niepożądanych (m.in. uszkodzenie wątroby [z wyjątkiem badania Duan2019], objawy żołądkowo-jelitowe, uszkodzenia nerek) były nieistotne statystycznie.

Mykobakterioza płuc

Metaanaliza Nasiri 2021 miała na celu ocenę efektów leczenia pacjentów z rozpoznaniem zakażenia *Mycobacterium avium Complex* (MAC) leczonych schematem opartym na klofazyminie. Do metaanalizy włączono 19 badań oceniających skuteczność terapii zawierających klofazyminę oraz 21 badań bez klofazyminy w schemacie leczenia. Wśród włączonych badań oceniających klofazyminę 6 dotyczyło pacjentów z zakażeniem MAC – postać płucna, bez HIV. Szacowane zbiorcze wskaźniki powodzenia leczenia ogółem wyniosły 56,8 w grupie z badaniami zawierającymi w schemacie klofazyminę i 67,9% w grupie z badaniami bez klofazyminy (postać płucna i rozsiana zakażenia). Wskaźniki powodzenia leczenia były wyższe - 58,7% w leczeniu pacjentów z HIV z rozsianym zakażeniem MAC, w porównaniu do pacjentów z zakażeniem postacią płucna zakażenia MAC bez zakażenia HIV – 51,0%.

Dodatkowe informacje dotyczące skuteczności i bezpieczeństwa

Zgodnie z ChPL Lamprene, do najczęściej występujących działań niepożądanych należą (bardzo często ($\geq 1/10$): przebarwienie spojówki i tęcz oraz pigmentacja rogówki; nudności, wymioty, ból brzucha, biegunka, zabarwienie kału; nieprawidłowe zabarwienie potu, dyschromia skóry, zmiana koloru włosów, rybia łuska, suchość skóry; zmiana zabarwienia moczu. W charakterystyce wskazano, że działania niepożądane związane z pigmentacją są odwracalne po przerwaniu leczenia.

Analitycy Agencji przeprowadzili ocenę jakości włączonych przeglądów systematycznych z wykorzystaniem skali AMSTAR. Cztery przeglądy (Ahmad 2019, Haraus 2018, Nasiri 2020 i Nasiri 2020) oceniono jako umiarkowanej jakości, natomiast jakość przeglądu Lan 2020 jest krytycznie niska. Dodatkowo dokonano oceny ryzyka błędów systematycznego randomizowanych badań klinicznych (Du 2020, Duan 2019 i Wang 2018) wg zaleceń Cochrane Handbook. W badaniach tych ryzyko związane z błędem wykonania określono jako wysokie, ze względu na brak zaślepienia pacjentów i personelu.

Należy dodatkowo podkreślić ograniczenia analizy związane z tym, że odnalezione przeglądy systematyczne Nasiri 2021 i Nasiri 2020 dla mykobakteriozy płuc dotyczą jedynie rozpoznania Mycobacterium avium complex (MAC). Nie odnaleziono dowodów na temat skuteczności i bezpieczeństwa klofazyminy w leczeniu mykobakterioz płuc wywołanych przez inne prątki należące do rodziny Mycobacteriaceae.

Problem ekonomiczny

Niewielka populacja pacjentów objętych analizą oraz stosunkowo niska cena rynkowa ocenianego leku wskazuje na ograniczone obciążenie dodatkowymi wydatkami budżetu państwa.

Główne argumenty decyzji

Głównym argumentem pozytywnej opinii o refundacji leku klofazymina w gruźlicy płuc wielolekoopornej jest jego udowodniona skuteczność kliniczna. Pozytywna opinia o zastosowaniu klofazyminy w mykobakteriozie płuc oparta jest na rekomendacji zastosowania tego leku w wytycznych ATS/ERS/ESCMID/IDSA 2020.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust. 2 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2020 r., poz. 1398) oraz w zw. z art. 39 ust. 3 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 523), z uwzględnieniem opracowania nr: OT.4211.21.2021 „Lamprene (klofazymina) we wskazaniach: gruźlica płuc wielolekooporna, mykobakterioza płuc”, data ukończenia: 08.07.2021 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 92/2021 z dnia 12 lipca 2021 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku
Proglicem (diazoxidum) w różnych wskazaniach

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację produktów leczniczych:

- *Proglicem (diazoxidum), kapsułki 25 mg,*
- *Proglicem (diazoxidum), tabletki 100 mg,*
- *Proglicem (diazoxidum), zawiesina doustna 50mg/ml,*

we wskazaniach: insulinoma, hipoglikemia hiperinsulinemiczna, hiperinsulinizm wrodzony, hipoglikemia nieokreślona, zespół hipoglikemia – hiperamonemia, zespół MEN2, zespół Beckwitha-Wiedemanna, inne hipoglikemie.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Decyzja dotyczy refundacji produktu leczniczego Proglicem w rzadkich wskazaniach, obejmujących różne przyczyny objawowej hipoglikemii. Diazoksyd jest substancją leczniczą działającą hiperglikemizująco poprzez hamowanie sekrecji insuliny, zwiększenie sekrecji adrenaliny oraz glukoneogenezę. Lek została już wcześniej pozytywnie oceniony we wnioskowanych wskazaniach przez Radę Przejrzystości (Stanowisko Rady Przejrzystości nr 36/2018, nr w BIP 27/2018) oraz pozytywnie rekomendowany przez Prezesa Agencji (Rekomendacja Prezesa nr 37/2018, nr w BIP 27/2018). Obecna decyzja oparta jest na zaktualizowanych danych z badań naukowych i wytycznych klinicznych.

Dowody naukowe

W ramach aktualizacji dowodów naukowych odnaleziono 1 przegląd systematyczny z metaanalizą dotyczący dzieci z hipoglikemią hiperinsulinemiczną oraz 4 badania pierwotne, retrospektywne, bez grupy kontrolnej, w tym 3 badania dotyczące populacji dzieci z hipoglikemią hiperinsulinemiczną (wrodzonym hiperinsulinizmem) oraz 1 badanie dotyczące populacji pacjentów z wyspiakiem trzustki (insulinoma).

Wyniki badań wskazują, że większość pacjentów odpowiada na leczenie diazoksydem (71% według przeglądu Chen 2021), co pozwala zredukować



niekorzystne następstwa związane z hipoglikemią, zwłaszcza dla układu nerwowego. W trakcie terapii należy monitorować stan pacjenta, aby zapobiegać konsekwencjom działań niepożądanych, wśród których wymieniane jest zatrzymanie płynów, obrzęk, objawy ze strony układu pokarmowego, neutropenia, nadciśnienie płucne, trombocytopenia, nadmierne owłosienie. Wyniki badań włączonych do niniejszego opracowania są zbieżne z poprzednimi danymi i wskazują na możliwe korzyści kliniczne ze stosowania diazoksydu we wnioskowanych wskazaniach. Zarówno badania włączone do przeglądu systematycznego Chen 2021, jak i odnalezione badania pierwotne, charakteryzowały się niską jakością, były retrospektywne, bez grupy kontrolnej, co stanowi ograniczenie analizy, jest jednak charakterystyczne dla chorób rzadkich.

W ramach aktualizacji poprzedniego wyszukiwania odnaleziono 3 nowe wytyczne, w tym 2 aktualizacje poprzednich wytycznych dotyczących postępowania w hipoglikemii noworodków (Queensland Clinical Guidelines 2021, CPS 2019). Aktualizacje nadal wymieniają diazoksyd jako opcję terapeutyczną w leczeniu ciężkiej, objawowej hipoglikemii. Dodatkowo odnaleziono wytyczne ESMO 2020, w których stosowanie diazoksydu jest wymieniane jako opcja leczenia objawowego wyspiaka trzustki.

Problem ekonomiczny

Decyzja dotyczy rzadkich wskazań, obejmujących od kilku do kilkuset pacjentów, dlatego nie powinna stanowić nadmiernego obciążenia dla płatnika publicznego. Z kolei cena preparatu dla indywidualnego pacjenta mogłaby stanowić finansową barierę, dlatego wskazana jest refundacja technologii ze środków publicznych.

Główne argumenty decyzji

Dowody naukowe wskazują na możliwe korzyści kliniczne, a docelowa populacja jest niewielka i obejmuje osoby z chorobami rzadkimi, dlatego refundacja technologii w ramach importu docelowego nie powinna stanowić nadmiernego obciążenia dla płatnika publicznego.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust. 2 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2020 r., poz. 1398) oraz w zw. z art. 39 ust. 3 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 523), z uwzględnieniem opracowania nr: OT.4211.20.2021 „Proglicem (diazoksyd) we wskazaniach: insulinoma, hipoglikemia hiperinsulinemiczna, hiperinsulinizm wrodzony, hipoglikemia nieokreślona, zespół hipoglikemia – hiperamonemia, zespół MEN2, zespół Beckwitha-Wiedemanna, inne hipoglikemie”, data ukończenia: 30.06.2021 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 96/2021 z dnia 12 lipca 2021 roku
o projekcie programu „Gminny program polityki zdrowotnej
w zakresie profilaktyki zakażeń meningokokowych wśród dzieci
w oparciu o szczepienia przeciwko meningokokom z grupy A, C,
W-135, Y w Gminie Suszec”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Gminny program polityki zdrowotnej w zakresie profilaktyki zakażeń meningokokowych wśród dzieci w oparciu o szczepienia przeciwko meningokokom z grupy A, C, W-135, Y w Gminie Suszec”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady oraz uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

*Inwazyjna choroba meningokokowa (IChM) jest ciężką, gwałtownie postępującą chorobą bakteryjną wywołaną przez wtargnięcie dwoinek *Neisseria meningitidis* do krwi i/lub ośrodkowego układu nerwowego. IChM jest najczęstszą postacią zakażeń meningokokowych, zwykle przebiega jako sepsa, ropne zapalenie opon mózgowo-rdzeniowych lub ich połączenie. Nawet w przypadku wczesnego zdiagnozowania choroby i zastosowania odpowiedniego leczenia, zakażenie kończy się zgonem w 5-10% przypadków, zazwyczaj w przeciągu 24-48h od wystąpienia objawów.*

Agencja opiniowała już w 2014 r. podobny projekt programu, otrzymany od Gminy Suszec (przewidywał szczepienia przeciwko meningokokom z serogrupy C). Prezes Agencji wydał wówczas opinię warunkowo pozytywną.

Oceniany projekt wpisuje się w priorytet „zwiększenie skuteczności zapobiegania chorobom zakaźnym i zakażeniom, w tym przeciwdziałanie skutkom nieprawidłowej antybiotykoterapii”, wymieniony w rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 27 lutego 2018 r.

Główne założenie opiniowanego programu to: „obniżenie liczby zakażeń meningokokowych wywołanych bakterią z grupy A, C, W-135, Y u dzieci objętych programem”. Program jest adresowany do 2-letnich dzieci, a będzie realizowany od września 2021 r. do grudnia 2025 r. Wnioskodawca wskazał, że rocznie zaszczepionych zostanie 104 dzieci, co stanowi około 79% populacji docelowej.



Wnioskodawca planuje wybór jednostek realizujących program w drodze konkursu, a następnie przekazanie informacji do rodziców dzieci spełniających kryteria włączenia (działania edukacyjne). Interwencja obejmie badanie lekarskie, podanie jednej dawki szczepionki przeciw *Neisseria meningitidis* typu A, C, W-135 i Y, dokumentację procedury, postępowanie z odpadami, a także edukację w zakresie profilaktyki zakażeń meningokokami oraz postępowania w przypadku wystąpienia odczynu poszczepiennego.

Zgodnie z Programem Szczepień Ochronnych na 2021 r., szczepienia przeciwko meningokokom wskazuje się jako szczepienia zalecane m.in. niemowlętom od ukończenia 2 miesiąca życia, dzieciom i osobom dorosłym narażonym na ryzyko IChM oraz dzieciom i osobom dorosłym z wrodzonymi niedoborami odporności.

We wszystkich odnalezionych rekomendacjach zaleca się szczepienia ochronne przeciwko IChM. Istnieją natomiast rozbieżności dotyczące przeprowadzania rutynowych szczepień przeciwko meningokokom w różnych kategoriach wiekowych. Wymienia się w tej mierze zwłaszcza dzieci i niemowlęta w przedziale między 2 miesiącem życia a 2 rokiem życia (ACIP 2020, AGDOH 2020, PHAC 2020, ATAGI 2018, SITKO 2017, WHO 2015, GoC 2015, AAP 2014, PIDAC 2014, JCVI 2014) bądź między 6 a 24 miesiącem życia (PHAC 2015, STIKO 2014, MLF 2012, NCIRS 2009, FEMS 2007). Jedno z towarzystw rekomenduje rozszerzenie przedziału wiekowego grupy szczepiennej o dzieci w wieku do 4 r.ż. (JCVI 2014). Kolejne towarzystwo rekomenduje szczepienia niemowląt poniżej 2 m.ż., dzieci między 2 a 10 r.ż. oraz młodzieży między 11 a 17 r.ż. (PIDAC 2014). Inne zaś wskazuje na grupę dzieci od 2 do 9 r.ż. (GoC 2015). Postuluje się wreszcie, by zaszczepić przeciwko omawianej chorobie dzieci i dorosłych do 29 r.ż. (WHO 2015).

Większość organizacji naukowych zaleca szczepienia przeciwko 5 grupom serologicznym: A, B, C, Y oraz W-135. Metaanaliza McMillan 2020 wskazuje, że podanie szczepionki MenACWY istotnie statystycznie zmniejsza szansę wystąpienia IChM.

W ramach działań profilaktycznych nacelowanych na chorobę meningokokową zaleca się też realizowanie działań edukacyjnych, skupionych na uświadamianiu rodziców/opiekunów o ryzyku zdrowotnym związanym z tą chorobą (ACIP 2020).

W opinii Rady Przejrzystości nr 75/2021 z dnia 21 czerwca 2021 r. w sprawie zalecanych technologii medycznych, działań przeprowadzanych w ramach programów polityki zdrowotnej oraz warunków realizacji tych programów dotyczących profilaktyki zakażeń meningokokowych, stwierdzono zasadność finansowania szczepień przeciwko meningokokom, poprzedzonych badaniem lekarskim i połączonych z działaniami edukacyjnymi, przede wszystkim w grupach dzieci w wieku od 2 miesięcy do 5 lat, zaś w innych grupach wiekowych

u osób obarczonych czynnikami ryzyka, stosownie do ChPL poszczególnych preparatów.

Ocena zgłaszalności do programu ma opierać się na podstawie kwartalnych oraz rocznych raportów okresowych realizatora. W zakresie oceny jakości świadczeń, wnioskodawca zaplanował stałe monitorowanie, który będzie przeprowadzone przez wyznaczoną osobę, jak i przewidziana została możliwość zgłaszania uwag pisemnych przez rodzica/opiekuna. Przeprowadzona będzie również anonimowa ankieta, uzupełniana tuż po wykonaniu szczepienia. Do projektu załączono wzór ankiety. Ewaluacja programu powinna opierać się na porównaniu stanu sprzed wprowadzenia działań w ramach programu, a stanem po jego zakończeniu, co zostało uwzględnione w projekcie.

Koszt jednostkowy został oszacowany w projekcie programu na 190 zł (koszt szczepionki, badanie lekarskie, usługa szczepienia, koszt sprzętu i środków medycznych oraz koszt utylizacji wytworzonych odpadów medycznych). Natomiast koszt akcji informacyjno-promocyjnej określono na kwotę 240 zł rocznie. Całkowity budżet programu oszacowano na 100 000 zł (20 000 zł rocznie). W projekcie wskazano, że rzeczywisty koszt realizacji programu może ulec zmianie ze względu na możliwości budżetu gminy oraz zmienną liczbę uczestników programu. Program ma zostać sfinansowany ze środków pochodzących z budżetu gminy Suszec.

Podstawowe uwagi, które można podnieść pod adresem ocenianego programu:

- w treści programu odwołano się do nieaktualnego Programu Szczepień Ochronnych;
- w ramach celu głównego wnioskodawca nie wskazał wartości docelowej;
- jeśli chodzi o cele szczegółowe, to cel nr 1 nie odnosi się bezpośrednio do efektu zdrowotnego, a przy tym nie został określony sposób jego pomiaru. W celu nr 2 wnioskodawca nie wskazał wartości docelowej. Cele nr 3, 4 i 5 zostały nieprawidłowo sformułowane w postaci działania;
- w zdawkowy sposób przedstawiono planowane działania edukacyjne;
- w zdawkowy sposób opisano etapy organizacji programu oraz warunki dotyczące personelu, wyposażenia i lokalu;
- pierwszy z przyjętych mierników efektywności nie odnosi się bezpośrednio do celów programu (choć może zostać wykorzystany podczas ewaluacji). Wskaźniki nr 2, 3 i 4 nie spełniają funkcji miernika efektywności (mogą natomiast zostać wykorzystane podczas monitorowania programu);
- nie przedstawiono kosztów działań edukacyjnych.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48a ust. 8 pkt 3, w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 3 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2020 r., poz. 1398), z uwzględnieniem raportu nr: OT.431.42.2021 „Gminny program polityki zdrowotnej w zakresie profilaktyki zakażeń meningokokowych wśród dzieci w oparciu o szczepienia przeciwko meningokokom z grupy A, C, W-135, Y w Gminie Suszec”, data ukończenia: lipiec 2021 r. oraz raportu nr: OT.434.4.2021 „Profilaktyka zakażeń meningokokowych” z czerwca 2021 r.