



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

BP.401.43.2021.LAn

**Protokół nr 41/2021
z posiedzenia Rady Przejrzystości
w dniu 30 sierpnia 2021 roku
w formie wideokonferencji**

Piotr Szymański otworzył posiedzenie o godzinie 10:05.

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

1. Dorota Kilańska
2. Adam Maciejczyk
3. Tomasz Młynarski
4. Jakub Pawlikowski
5. Tomasz Romańczyk
6. Piotr Szymański
7. Janusz Szyndler

Członkowie Rady nieobecni na posiedzeniu:

1. Artur Zaczyński

Proponowany porządek obrad:

1. Ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Neocate Syneo we wskazaniu: postępowanie dietetyczne u niemowląt i dzieci w ciężkiej alergii na białka mleka krowiego oraz złożonej nietolerancji białek pokarmowych.
3. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego: „Gminny Program Polityki Zdrowotnej w zakresie przeciwdziałania zakażeniom meningokokowym w Gminie Pilchowice”.
4. Przygotowanie opinii w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną doxazosinum we wskazaniach: przewlekła choroba nerek u dzieci do 18 roku życia; neurogenna dysfunkcja pęcherza u dzieci do 18 roku życia; nieneurogenna dysfunkcja pęcherza u dzieci do 18 roku życia.
5. Przygotowanie opinii w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną valganciclovirum we wskazaniu: dla postaci leku – tabletki: zakażenia wirusem cytomegalii po transplantacji narządów lub szpiku - leczenie; zakażenia wirusem Ebsteina-Barr po transplantacji narządów lub szpiku – leczenie; a dla postaci leku – proszek do sporządzania roztworu doustnego: zakażenia wirusem cytomegalii po transplantacji narządów lub szpiku – leczenie – w przypadku udokumentowanych przeciwwskazań do stosowania walgancycloviru w stałej doustnej postaci farmaceutycznej; zakażenia wirusem Ebsteina-Barr po transplantacji



narządów lub szpiku – leczenie – w przypadku udokumentowanych przeciwwskazań do stosowania walgancyklowiru w stałej doustnej postaci farmaceutycznej.

6. Zakończenie posiedzenia.

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

Rada jednogłośnie (7 głosów „za”) przyjęła zaproponowany porządek obrad.

Ad 2. Analityk Agencji przedstawił dane w zakresie środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Neocate Syneo (wniosek refundacyjny) we wskazaniu dot. postępowania dietetycznego w ciężkiej alergii na białka mleka krowiego oraz złożonej nietolerancji białek pokarmowych, a propozycję stanowiska Rady przedstawił Tomasz Romańczyk.

W dyskusji Rady i ustalaniu treści uchwały uczestniczyli: Tomasz Romańczyk, Piotr Szymański, Janusz Szyndler, Dorota Kilańska i Jakub Pawlikowski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (7 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 1 do protokołu).

Ad 3. Analityk Agencji omówił założenia programu polityki zdrowotnej gm. Pilchowice dot. zakażeń meningokokowych, a propozycję opinii Rady przedstawił Tomasz Młynarski.

Wobec braku głosów w dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (7 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 2 do protokołu).

Ad 4. Janusz Szyndler przedstawił projekt opinii Rady, odnoszący się do leków zawierających substancję czynną doxazosinum we wskazaniach dot. przewlekłej choroby nerek u dzieci, neurogennej dysfunkcji pęcherza u dzieci oraz nieneurogennej dysfunkcji pęcherza u dzieci.

Wobec braku głosów w dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (7 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 3 do protokołu).

Ad 5. Propozycję opinii Rady w zakresie leków zawierających substancję czynną valganciclovirum we wskazaniach dot. zakażeń wirusem cytomegalii po transplantacji narządów lub szpiku oraz zakażeń wirusem Ebsteina-Barr po transplantacji narządów lub szpiku przedstawił Adam Maciejczyk.

Wobec braku głosów w dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (7 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 4 do protokołu).

Ad 6. Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 11:31.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 107/2021 z dnia 30 sierpnia 2021 roku

w sprawie oceny środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Neocate Syneo we wskazaniu: postępowanie dietetyczne u niemowląt i dzieci w ciężkiej alergii na białka mleka krowiego oraz złożonej nietolerancji białek pokarmowych

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Neocate Syneo, proszek, 400 gram, kod GTIN: 5016533654677, we wskazaniu: postępowanie dietetyczne u niemowląt i dzieci w ciężkiej alergii na białka mleka krowiego oraz złożonej nietolerancji białek pokarmowych, jako środka dostępnego w aptece na receptę, w ramach nowej grupy limitowej i wydawanie go za odpłatnością ryczałtową. Rada Przejrzystości nie zgłasza uwag do propozycji instrumentu dzielenia ryzyka.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Szacuje się, że odsetek niemowląt i dzieci z objawami alergii pokarmowej wynosi 6-8%, natomiast częstość alergii na białka mleka krowiego, potwierdzonych oceną immunologiczną i próbami eliminacyjnymi, wynosi 2- 3%.

Odnalezione wytyczne, zarówno polskie, jak i zagraniczne lub międzynarodowe, wskazują, że w przypadku występowania objawów alergii na pokarm (najczęściej mleko krowie), należy zacząć podawać preparaty mlekozastępcze. W pierwszej linii zalecane są mieszanki zawierające hydrolizaty białek mleka (eHF), które w większości przypadków alergii na mleko są akceptowane przez pacjentów. Szacuje się, że u około 10% chorych występuje ciężka postać alergii. W takich przypadkach, jako drugą linię leczenia, należy podawać mieszanki elementarne – zawierające mieszankę aminokwasów (AAF).

Wg Konsultanta Krajowego w dziedzinie gastroenterologii dziecięcej, spośród narodzonych ok. 400 tys. dzieci, rocznie 0,5-1% ma alergię na białko mleka krowiego. Oceniana technologia byłaby zastosowana po objęciu jej refundacją u ok. 3 tys. pacjentów z ciężką alergią na białka mleka krowiego oraz u ok. 500 pacjentów ze złożoną nietolerancją białek pokarmowych.

Preparat Neocate Syneo (mieszanka elementarna, AAF, ang. amino acids formula) + synbiotyki, tj. Bifidobacterium breve M-16V, jako probiotyki,



i scFOS/lcFOS – krótkie i długie łańcuchy fruktooligosacharydów (ang. short chain fructooligosaccharides/long chain fructooligosaccharides) jako prebiotyku, ma działanie modyfikujące zaburzoną w alergii na białka mleka krowiego mikrobiotę przewodu pokarmowego chorych dzieci. Dodanie synbiotyku do mieszanki elementarnej ma większy efekt kliniczny niż pro i prebiotyki osobno, bo w przypadku synbiotyków prebiotyki selektywnie stymuluje kolonizację probiotyku.

Wnioskodawca wskazuje, iż dodatkowy efekt zdrowotny płynący ze stosowania mieszanki elementarnej (AAF) z synbiotykiem (produkt Neocate Syneo), zamiast AAF bez synbiotyku, to niższe ryzyko hospitalizacji z powodu infekcji i infestacji dzięki zmianom w mikrobiocie jelitowej.

Wnioskowane wskazanie refundacyjne środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego (śsspz) Neocate Syneo jest wskazaniem węższym niż wskazanie rejestracyjne i obejmuje postępowanie dietetyczne u niemowląt i dzieci w ciężkiej alergii na białka mleka krowiego oraz złożonej nietolerancji białek pokarmowych.

Dowody naukowe

Mieszanki elementarne (AAF) są wskazane w pierwszej linii w przypadku bardzo ciężkich przypadków reakcji alergicznych (reakcje anafilaktyczne), eozynofilowego zapalenia przełyku, enteropatii, zespołu Heinera oraz zaburzeń wzrastania.

Do przeglądu systematycznego wnioskodawcy włączono 3 pierwotne badania z randomizacją: badanie PRESTO ([redacted] , Chatchatee 2019_abstrakt) i badanie ASSIGN (Candy 2018, Fox 2019, Wopereis 2019), w których ocenianą interwencję porównywano z produktem Neocate LCP oraz badanie Burks 2015 (wyłączony z dalszej oceny-komparator nierefundowany w Polsce), w którym ocenianą interwencję porównywano z produktem Neocate Infant DHA/ARA.

Zarówno w badaniu PRESTO, jak i w badaniu ASSIGN, różnice IS na korzyść ocenianej interwencji zaobserwowano dla punktów surogatowych. Dodatkowy efekt zdrowotny płynący ze stosowania mieszanki elementarnej (AAF) z synbiotykiem, zamiast AAF bez synbiotyku, to niższe ryzyko hospitalizacji z powodu infekcji i infestacji, dzięki zmianom w mikrobiocie jelitowej. Jedyną IS różnicą zaobserwowaną w badaniu PRESTO w zakresie profilu bezpieczeństwa była niższa częstość występowania poważnych infekcji i infestacji w ramieniu pacjentów stosujących produkt Neocate Syneo (9% vs. 20%; OR=0,38 (0,15; 0,96); p=0,036; NNH = 9). W badaniu ASSIGN zaobserwowano IS różnice na korzyść

ocenianej interwencji w zakresie częstości występowania infekcji ucha (0% vs. 20%; OR=0,05 (0,003; 0,98); p=0,048; NNH=5) oraz konieczności stosowania leków wspomagających: przeciwinfekcyjnych podawanych systemowo (8,6% vs. 33,3%; OR=0,19 (0,05; 0,74); p=0,02; NNH=4), dermatologicznych (17,1% vs. 45,7%; OR=0,25 (0,08; 0,74); p=0,013; NNH=4) oraz emolientów i innych środków ochronnych na skórę (5,7% vs. 28,6%; OR=0,15 (0,03; 0,75); p =0,021; NNH=5).

Opisano 2 opracowania wtórne: przegląd systematyczny w metaanalizę Sorensen 2021, w którym oceniano skuteczność mieszanek AAF z dodatkiem synbiotyku z AAF bez synbiotyku w populacji pacjentów pediatrycznych z alergią na białka mleka krowiego oraz przegląd systematyczny Keulers 2020, którego wyniki zaprezentowano w postaci posteru na konferencji FAAM – EUROBAT 2020, a którego celem było porównanie mieszanek AAF z dodatkiem synbiotyku z AAF bez synbiotyku w zakresie częstości infekcji ucha oraz konieczności stosowania leków z tym związanych w populacji pacjentów pediatrycznych z alergią na mleko krowie. W przeglądzie systematycznym Sorensen 2021, włączonym do analizy klinicznej wnioskodawcy, autorzy wskazują na niższe ryzyko hospitalizacji z powodu infekcji.

Problem ekonomiczny

Według danych NFZ, liczba pacjentów poniżej 18 r.ż. (unikalne numery PESEL), u których zrefundowano środki spożywcze specjalnego przeznaczenia żywieniowego (Neocate LCP, Neocate Junior, Nutramigen PURAMINO i Nutramigen PURAMINO Junior) wynosiła: 11 120 osób w 2017 r., 13 815 osób w 2018 r., 15 126 osób w 2019 r. oraz 13 537 osób w 2020 r.

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy, bez uwzględnienia RSS, stosowanie środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Neocate Syneo (preparat AAF z synbiotykiem) w miejsce preparatów AAF bez synbiotyku jest droższe [redacted].

W przypadku uwzględnienia RSS, stosowanie środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Neocate Syneo (preparat AAF z synbiotykiem) w miejsce preparatów AAF bez synbiotyku jest [redacted], zarówno z perspektywy NFZ, jak i wspólnej. Oszacowany ICUR dla tego porównania wyniósł [redacted] z perspektywy NFZ oraz [redacted] z perspektywy wspólnej.

Przy uwzględnieniu w ramieniu komparatora wyłącznie produktu Neocate LCP śsspż Neocate Syneo jest droższy [redacted] od wybranego komparatora, a oszacowany ICUR znajduje się znacznie powyżej progu opłacalności. Z kolei w wariancie z RSS ICUR wynosi [redacted] z perspektywy NFZ, natomiast z perspektywy wspólnej [redacted]. Uwzględnienie instrumentu dzielenia ryzyka powoduje [redacted].

z analizy podstawowej – terapia Neocate Syneo

Wyniki analizy wpływu na budżet wnioskodawcy

Główne argumenty decyzji

Neocate Syneo jest dietetycznym środkiem spożywczym specjalnego przeznaczenia, złożonym z mieszaniny wolnych aminokwasów z dodatkiem długołańcuchowych wielonasyconych kwasów tłuszczowych, kwasu dokozaheksaenowego i kwasu arachidonowego oraz synbiotyku. Znajduje zastosowanie u niemowląt i dzieci w ciężkiej alergii na białka mleka krowiego oraz złożonej nietolerancji białek pokarmowych. Dodanie synbiotyku do mieszanki elementarnej ma większy efekt kliniczny niż pro i prebiotyki osobno, bo w przypadku synbiotyków prebiotyki selektywnie stymuluje kolonizację probiotyku. Dodatkowy efekt zdrowotny, płynący ze stosowania mieszanki elementarnej (AAF) z synbiotykiem (produkt Neocate Syneo), zamiast AAF bez synbiotyku, to niższe ryzyko hospitalizacji z powodu infekcji i infestacji dzięki zmianom w mikrobiocie jelitowej.

Stosowanie Neocate Syneo (preparat AAF z synbiotykiem) w miejsce preparatów AAF bez synbiotyku, z uwzględnieniem proponowanego mechanizmu RSS, jest

Opinia Rady jest zgodna z opinią Rady Przejrzystości nr 34/2014 z dn. 28.01.2014 r., uznającą za zasadne tworzenie odrębnych grup limitowych, w celu równej dostępności do poszczególnych śssp. Niezależnie od tego, Rada uznaje za właściwe opracowanie jednolitego systemu refundacji wszystkich śssp, pozwalającego na lepszą kontrolę wydatków płatnika publicznego.

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 2021 r., poz. 1285, z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OT.4230.12.2021 „Wniosek o objęcie refundacją środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Neocate Syneo we wskazaniu: postępowanie dietetyczne u niemowląt i dzieci w ciężkiej alergii na białka mleka krowiego oraz złożonej nietolerancji białek pokarmowych”; data ukończenia: 19.08.2021 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

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



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

**Opinia Rady Przejrzystości
nr 124/2021 z dnia 30 sierpnia 2021 roku
o projekcie programu „Gminny Program Polityki Zdrowotnej
w zakresie przeciwdziałania zakażeniom meningokokowym
w Gminie Pilchowice”**

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Gminny Program Polityki Zdrowotnej w zakresie przeciwdziałania zakażeniom meningokokowym w Gminie Pilchowice”, 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 (posocznica), ropne zapalenie opon mózgowo-rdzeniowych lub połączenie sepsy z równoczesnym zapaleniem opon mózgowych. 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.*

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: „zmniejszenie liczby zakażeń *Neisseria meningitidis* typu A,C W135, Y w tym IChM oraz hospitalizacji wywołanych IChM wśród dzieci urodzonych w 2021 oraz w roku 2015 z gminy Pilchowice o 50% w okresie realizacji programu w latach 2022-2023”. Program jest adresowany do dzieci powyżej 12 m.ż. oraz dzieci 7-letnich. W kolejnych latach programu włączane będą kolejne roczniki. Objęcie szczepieniem dzieci z rocznika 2015 stanowi kontynuację obecnie realizowanego programu zdrowotnego, dotyczącego szczepienia przeciwko bakteriom meningokokowym grupy C. Przewidywana liczba osób mogących wziąć udział w realizacji programu to 230 osób. W planach dotyczących kosztów programu założono zaszczepienie*



80% populacji docelowej, czyli 184 osoby rocznie, a 368 osób w czasie trwania całego programu.

Wnioskodawca planuje wybór jednostek realizujących program w drodze konkursu. Pierwszym z etapów programu będzie kampania informacyjna, prowadzona za pośrednictwem strony internetowej gminy i jednostek jej podległych, placówek dziennej opieki nad dziećmi oraz gabinetów POZ, a także lokalnych i regionalnych mediów. Interwencja obejmie badanie lekarskie, podanie jednej dawki skoniugowanej 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 (m.in. osoby przebywające w zbiorowiskach) 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). Następną grupą docelową wskazywaną przez towarzystwa naukowe jest młodzież między 10 a 19 r.ż. (ACIP 2020, CDC 2020, PHAC 2020, AGDOH 2020, ATAGI 2018, SITKO 2017, AAP 2016, GoC 2015, JCVI 2014, PIDAC 2014). 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.

Oceniany projekt przewiduje ocenę zgłaszalności do programu. W zakresie oceny jakości świadczeń wnioskodawca zaplanował przeprowadzenie anonimowej ankiety satysfakcji. Do projektu załączono wzór ankiety. W ramach ewaluacji ma zostać przeprowadzona analiza poziomu wyszczepienia populacji docelowej oraz długofalowej zmiany w liczbie zachorowań i hospitalizacji wywołanych zgodnie z danymi z rejestrów publicznych. 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 (lekarskie badanie kwalifikacyjne, wykonanie szczepienia wybraną szczepionką, utylizacja odpadów, przekazanie materiałów edukacyjnych, przeprowadzenie ankiety, prowadzenie i sprawozdanie dokumentacji w programie). Dodatkowo wskazano koszty akcji informacyjno-promocyjnej (200 zł rocznie) oraz monitorowania i ewaluacji (300 zł). Całkowity budżet programu oszacowano 70 920 zł (35 460 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 Pilchowice.

Podstawowe uwagi, które można podnieść pod adresem ocenianego programu:

- W treści programu odwołano się do nieaktualnego Programu Szczepień Ochronnych.
- W ramach celu głównego założono m.in. zmniejszenie liczby hospitalizacji wywołanych IChM o 50% , co trudno uznać za realne, skoro program będzie realizowany w niewielkiej gminie, a w 2020 r. w całym województwie odnotowano 9 przypadków hospitalizacji związanych z IChM.
- Jeśli chodzi o cele szczegółowe, to cel nr 1 nie odnosi się do efektu zdrowotnego. Cel nr 2 jest trudny do zrealizowania ze względu na niewielką liczbę przypadków choroby w regionie. Cel nr 3 stanowi w istocie powielenie założenia głównego. Cel nr 4 dotyczący podniesienia świadomości jest niemierzalny, skoro w projekcie nie zaplanowano przeprowadzenia pre- i post-testu, a zatem nie będzie możliwy pomiar przyrostu wiedzy.

- *Dwa z przyjętych wskaźników nie spełniają funkcji miernika efektywności (mogą natomiast zostać wykorzystane podczas monitorowania programu).*
- *Pierwszy ze wskazanych w ramach ewaluacji wskaźników odnosi się bardziej do oceny zgłaszalności.*

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 2021 r., poz. 1285, z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr OT.431.65.2021 „Gminny Program Polityki Zdrowotnej w zakresie przeciwdziałania zakażeniom meningokokowym w Gminie Pilchowice” realizowany przez: Gminę Pilchowice, Warszawa, sierpień 2021 oraz z raportem nr OT.434.4.2021 „Profilaktyka zakażeń meningokokowych” z czerwca 2021 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 125/2021 z dnia 30 sierpnia 2021 roku
w sprawie refundacji leków zawierających substancję czynną
doxazosinum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania,
lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce
Produktu Leczniczego

Rada Przejrzystości uznaje za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną doxazosinum, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj. przewlekła choroba nerek u dzieci do 18 roku życia; neurogenna dysfunkcja pęcherza u dzieci do 18 roku życia; nieneurogenna dysfunkcja pęcherza u dzieci do 18 roku życia.

Uzasadnienie

Przedmiotem wniosku jest ocena zasadności dalszego finansowania doksazosyny we wskazaniach pozarejestacyjnych (off-label): przewlekła choroba nerek u dzieci do 18 roku życia; neurogenna dysfunkcja pęcherza u dzieci do 18 roku życia; nieneurogenna dysfunkcja pęcherza u dzieci do 18 roku życia. W opinii z roku 2018 (321/2018) Rada Przejrzystości uznała finansowanie doksazosyny za niezasadne w pierwszym ze wskazań, a zasadne w dwóch pozostałych.

W wytycznych klinicznych (EAU/ESPU 2019, aktualizacja EAU 2021) oraz (ICCS 2018) wymienia się doksazosynę jako opcję terapeutyczną w leczeniu neurogennej/nieneurogennej dysfunkcji pęcherza w populacji pediatrycznej (publikacje Austin, 1999; Cain, 2003; El-Hefnawy, 2012; Yucel, 2005). Wytyczne kliniczne KDIGO 2021 i PTNT2019, dotyczące leczenia nadciśnienia tętniczego towarzyszącego przewlekłej chorobie nerek, nie wymieniają doksazosyny wśród leków stosowanych w pediatrii pediatrycznej, niemniej w wytycznych NHLBI, 2011 wskazuje się na taką możliwość, podkreślając równocześnie niewystarczającą ilość danych dotyczących tego wskazania.

Podsumowując, dostępne dane niskiej jakości oraz wytyczne kliniczne wskazują na zasadność kontynuowania finansowania doksazosyny we wnioskowanych wskazaniach pozarejestacyjnych.



Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 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 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 1285, z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności dalszego finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr: OT.4221.15.2021 (Aneks do opracowania nr: OT.4321.11.2018) „Doksazosyna we wskazaniach: przewlekła choroba nerek u dzieci do 18 roku życia; neurogenna dysfunkcja pęcherza u dzieci do 18 roku życia; nieneurogenna dysfunkcja pęcherza u dzieci do 18 roku życia”. Data ukończenia: 25.08.2021 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

**Opinia Rady Przejrzystości
nr 126/2021 z dnia 30 sierpnia 2021 roku
w sprawie refundacji leków zawierających substancję czynną
valganciclovirum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania,
lub sposobu podawania odmiennych niż określone
w Charakterystyce Produktu Leczniczego**

Rada Przejrzystości uznaje za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną valganciclovirum, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj. (dla postaci leku):

- *tabletki:*
 - *zakażenia wirusem cytomegalii po transplantacji narządów lub szpiku – leczenie;*
 - *zakażenia wirusem Epsteina-Barr po transplantacji narządów lub szpiku – leczenie;*
- *proszek do sporządzania roztworu doustnego:*
 - *zakażenia wirusem cytomegalii po transplantacji narządów lub szpiku – leczenie – w przypadku udokumentowanych przeciwwskazań do stosowania walgancyklowiru w stałej doustnej postaci farmaceutycznej;*
 - *zakażenia wirusem Epsteina-Barr po transplantacji narządów lub szpiku – leczenie – w przypadku udokumentowanych przeciwwskazań do stosowania walgancyklowiru w stałej doustnej postaci farmaceutycznej.*

Uzasadnienie

W 2016 i 2018 roku RP wydała pozytywne opinie (nr 38/2016 oraz nr 322/2018) w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych substancji czynnej walgancyklowiru we wskazaniach innych niż ujęte w charakterystyce produktu leczniczego, tj.: w leczeniu zakażeń wirusem cytomegalii lub Epsteina-Barra, po transplantacji narządów lub szpiku.

Walgancyklowir jest prolekiem przeznaczonym do podawania doustnego, który w organizmie pacjenta jest przekształcany do gancyklowiru. Objawowe infekcje



wirusami cytomegalii i Epsteina-Barr u pacjentów z przeszczepionymi narządami mają często, ze względu na immunosupresję, ciężki przebieg. Leczone są w takich przypadkach w warunkach szpitalnych, a wówczas lekiem z wyboru jest gancyklowir podawany dożylnie. U pacjentów niewymagających hospitalizacji doustne stosowanie walgancyklowiru jest wygodniejszą formą podawania leku, w porównaniu z dożylnymi iniekcjami gancyklowiru.

Podobnie jak w opracowaniu z 2018 roku (OT.4321.28.2018), w wyniku aktualizacji przeglądu nie odnaleziono nowych badań dotyczących stosowania walgancyklowiru w leczeniu zakażenia CMV lub EBV. Wyniki przedstawionej w opracowaniu z 2015 r. (AOTMiT-BOR-434-21/2015) metaanalizy Vaziri 2014 wskazywały na brak istotnych statystycznie różnic między walgancyklowirem i gancyklowirem w zakresie eliminacji wirerii u pacjentów po przeszczepie narządów litych.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 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 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 1285, z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności dalszego finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr OT.4221.37.2021 (Aneks do opracowań nr: OT.4321.28.2018, AOTMiT-BOR-434-21/2015) „Walgancyklowir we wskazaniach innych niż określone w ChPL”. Data ukończenia: 26 sierpnia 2021 r.