



BP.401.55.2021.LAn

Protokół nr 52/2021
z posiedzenia Rady Przejrzystości
w dniu 22 listopada 2021 roku
w formie wideokonferencji

Piotr Szymański otworzył posiedzenie o godzinie 10:03.

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

1. Barbara Jaworska-Łuczak
2. Maciej Karaszewski
3. Dorota Kilańska
4. Adam Maciejczyk
5. Tomasz Młynarski
6. Rafał Niżankowski
7. Tomasz Romańczyk
8. Piotr Szymański
9. Janusz Szyndler
10. Anetta Undas

Proponowany porządek obrad:

1. Ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Ofev (nintedanibum) w ramach programu lekowego: „Leczenie nintedanibem choroby śródmiąższowej płuc związanej z twardziną układową (ICD-10 M34+J.99.1)”.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Mavenclad (cladribinum) w ramach programu lekowego dot. leczenia stwardnienia rozsianego (ICD-10 G35).
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny szczepionki Gardasil (szczepionka przeciw wirusowi brodawczaka ludzkiego [typy 6, 11, 16, 18], rekombinowana, adsorbowana).
5. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Vitravki (larotrectinibum) w ramach programu lekowego: „Leczenie guzów litych, które wykazują fuzję genu receptorowej kinazy tyrozynowej dla neurotrofin (NTRK)”.
6. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego EAA Supplement we wskazaniu: hiperamonemia.
7. Przygotowanie opinii o projektach programów polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego:
 - 1) „Program edukacji zdrowotnej – pierwsza pomoc przedmedyczna – dla pracowników Starostwa Powiatowego w Bieruniu i Powiatowych Jednostek Organizacyjnych” (pow. bieruńsko-lędziński),



2) „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców Gminy Kobylnica w wieku 65 lat i więcej na lata 2022-2025”,

8. Zakończenie posiedzenia.

Ad 1. Anetta Undas zgłosiła konflikt interesów w zakresie pkt. 2. proponowanego porządku obrad, w związku z czym podczas głosowania nad tym punktem jej głos liczony będzie jako wstrzymujący. Żaden z pozostałych członków Rady nie zadeklarował konfliktu interesów.

Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) przyjęła zaproponowany porządek obrad.

Ad 2. Analityk Agencji zaprezentował dane w zakresie leku Ofev (wniosek refundacyjny) we wskazaniu dot. leczenia choroby śródmiąższowej płuc związanej z twardziną układową.

Rada wysłuchiwała stanowiska dopuszczonego do udziału w posiedzeniu eksperta z dziedziny medycyny, który odpowiadał także na pytania Rady.

Propozycję stanowiska Rady przedstawił Piotr Szymański, a w dyskusji Rady uczestniczyli: Maciej Karaszewski, Janusz Szyndler i Piotr Szymański.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 8 głosami „za”, przy 1 głosie przeciw i 1 głosie wstrzymującym, z uwagi na konflikt interesów (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 1 do protokołu).

Ad 3. Analityk Agencji przedstawił prezentację o leku Mavenclad (wniosek refundacyjny) we wskazaniu dot. leczenia stwardnienia rozsianego.

Rada wysłuchiwała stanowiska dopuszczonego do udziału w posiedzeniu przedstawiciela pacjentów, który odpowiadał także na pytania Rady.

Propozycję stanowiska Rady przedstawił Janusz Szyndler, a głos w dyskusji Rady, w wyniku której doprecyzowano treść uchwały, udział brali: Janusz Szyndler, Piotr Szymański, Tomasz Romańczyk i Maciej Karaszewski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 8 głosami „za”, przy 2 głosach „przeciw” (10 osób obecnych) uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 2 do protokołu).

Ad 4. Analityk Agencji omówił szczegóły wniosku dot. szczepionki Gardasil (wniosek refundacyjny) we wskazaniu dot. HPV, a propozycję stanowiska Rady przedstawił Tomasz Młynarski.

Głos w dyskusji Rady, w wyniku której doprecyzowano treść uchwały, udział brali: Adam Maciejczyk, Piotr Szymański, Rafał Niżankowski, Dorota Kilańska, Tomasz Młynarski, Janusz Szyndler i Tomasz Romańczyk.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 8 głosami „za”, przy 2 głosach „przeciw” (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 3 do protokołu).

Ad 5. Analityk Agencji zaprezentował dane o leku Vitrakvi (wniosek refundacyjny) we wskazaniu dot. leczenia guzów litych, a propozycję stanowiska Rady przedstawił Adam Maciejczyk.

Głos w dyskusji Rady zabrali Tomasz Romańczyk i Piotr Szymański, po czym Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 4 do protokołu).

Posiedzenie opuścili Anetta Undas i Maciej Karaszewski.

Ad 6. Analityk Agencji omówił informacje dot. środka spożywczym specjalnego przeznaczenia żywieniowego EAA Supplement (import docelowy) we wskazaniu: hiperamonemia. Głos zabrała Barbara Jaworska-Łuczak, a propozycję stanowiska Rady przedstawił Tomasz Romańczyk.

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym uczestniczyli Piotr Szymański i Tomasz Romańczyk, po czym Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (8 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 5 do protokołu).

Ad 7. 1) Analityk Agencji zaprezentował szczegóły programu polityki zdrowotnej dot. pierwszej pomocy przedmedycznej pow. bieruńsko-lędzińskiego, a propozycję opinii Rady przedstawiła Dorota Kilańska.

Głos w dyskusji Rady zabrali: Tomasz Romańczyk, Piotr Szymański, Dorota Kilańska i Rafał Niżankowski, po czym Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 6 głosami „za”, przy 2 głosach „przeciw” (8 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 6 do protokołu).

2) Analityk Agencji omówił program polityki zdrowotnej gm. Kobylnica dot. rehabilitacji leczniczej, a propozycję opinii Rady przedstawiła Barbara Jaworska-Łuczak.

Głos w dyskusji Rady zabrali Piotr Szymański i Barbara Jaworska-Łuczak, a Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 7 głosami „za”, przy 1 głosie „przeciw” (8 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 7 do protokołu).

Ad 8. Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 14:42.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 126/2021 z dnia 22 listopada 2021 roku
w sprawie oceny leku Ofev (nintedanibum) w ramach programu
lekowego „Leczenie nintedanibem choroby śródmiąższowej płuc
związanej z twardziną układową (ICD-10 M34+J99.1)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktów leczniczych:

- *Ofev (nintedanibum), kapsułki miękkie, 150 mg, 60, kaps., kod EAN 05909991206468;*
- *Ofev (nintedanibum), kapsułki miękkie, 100 mg, 60, kaps., kod EAN 05909991206444,*

w ramach programu lekowego „Leczenie nintedanibem choroby śródmiąższowej płuc związanej z twardziną układową (ICD-10 M34+J99.1)”, w ramach istniejącej grupy limitowej „1173.0 Nintedanib” i wydawanie ich bezpłatnie.

Rada Przejrzystości nie akceptuje

Rada nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Ofev był oceniany przez Agencję, w celu zbadania zasadności finansowania ze środków publicznych, dwukrotnie w trybie ratunkowego dostępu do technologii lekowych we wskazaniach „włóknienie płuc w przebiegu twardziny układowej” oraz „przewlekła śródmiąższowa choroba płuc z postępującym włóknieniem innym niż idiopatyczne włóknienie płuc,” a także w ramach analiz weryfikacyjnych dotyczących leczenia idiopatycznego włóknienia płuc z zastosowaniem nintedanibu oraz leczenia idiopatycznego włóknienia płuc z zastosowaniem nintedanibu. W roku 2015 Stanowiska Rady Przejrzystości oraz Rekomendacja Prezesa dotycząca zasadności objęcia refundacją leku Ofev w leczeniu idiopatycznego włóknienia płuc były negatywne. W roku 2017 w tym samym wskazaniu Stanowiska Rady Przejrzystości były pozytywne warunkowo, a Rekomendacja Prezesa pozytywna. Zlecenia RDTL



dotyczące leku Ofev zostały zaopiniowane pozytywnie przez Radę Przejrzystości oraz Prezesa AOTMiT.

Dowody naukowe

Dobrej jakości dowody naukowe ograniczone są do pojedynczego randomizowanego badania klinicznego, w którym jako pierwszorzędowy punkt końcowy przyjęto zmiany natężonej pojemności życiowej (FVC) w obserwacji średnioterminowej. W badaniu tym podawanie nintedanibu wiązało się z mniejszym spadkiem FVC niż podawanie placebo, poprawą jakości życia, przy braku różnic w przeżywalności całkowitej. Należy zauważyć, że w przedłużonej otwartej fazie badania podawanie nintedanibu nie spowodowało zahamowania spadku FVC. Lek Ofev (nintedanib) został zarejestrowany do stosowania w śródmiąższowej chorobie płuc u osób z twardziną układową w Europie w lutym 2020 roku. Wytyczne towarzystw naukowych pochodzą z lat 2016-2019 i nie odnoszą się do stosowania nintedanibu w tej populacji chorych.

Problem ekonomiczny

Z perspektywy NFZ, stosowanie terapii nintedanibem jest [redacted] Oszacowane wartości ICUR znajdują się [redacted] progu opłacalności, o którym mowa w ustawie o refundacji, [redacted] Wynik ten utrzymuje się także w analizach wrażliwości. Szacowany wpływ na budżet płatnika jest [redacted] i wynosi około [redacted]

Główne argumenty decyzji

Cena leku powoduje, że wskaźnik ICUR znajduje się [redacted] Lek w obserwacji średnioterminowej powoduje spowolnienie spadku natężonej pojemności życiowej wraz z towarzyszącą poprawą jakości życia. Ze względu na ograniczony okres obserwacji nie wiadomo jednak, czy trend ten ma charakter trwały i czy przekłada się na poprawę przeżywalności w tej populacji chorych. Skuteczność leczenia nintedanibem w drugim roku od randomizacji była nominalnie niższa niż w roku pierwszym, a odległa skuteczność leku nie jest dobrze poznana. [redacted]

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 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.4231.40.2021 „Wniosek o objęcie refundacją leku Ofev (nintedanib) w ramach programu lekowego: »Leczenie nintedanibem choroby śródmiąższowej płuc związanej z twardziną układową (ICD-10 M34+J99.1)“«, data ukończenia: 10 listopada 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 (Boehringer Ingelheim International GmbH).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Boehringer Ingelheim International GmbH o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

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

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

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Boehringer Ingelheim International GmbH.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 127/2021 z dnia 22 listopada 2021 roku
w sprawie oceny leku Mavenclad (cladribinum) w ramach programu
lekowego dot. leczenia stwardnienia rozsianego (ICD-10 G35)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktów leczniczych:

- Mavenclad (cladribinum), 6 tab. à 10 mg, EAN 04054839365355,
- Mavenclad (cladribinum), 4 tab. à 10 mg, EAN 04054839365348,
- Mavenclad (cladribinum), 1 tab. à 10 mg, EAN 04054839365331,

w ramach programu lekowego [REDACTED]

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Stwardnienie rozsiane (łac. sclerosis multiplex, SM) jest przewlekłym, demielinizacyjnym schorzeniem ośrodkowego układu nerwowego o nie w pełni poznanej etiologii. Leczenie stwardnienia rozsianego obejmuje przede wszystkim terapię rzutów choroby, które ma na celu minimalizację zmian w obrębie układu nerwowego w okresie zaostrzenia oraz leczenia modyfikującego przebieg choroby, mającego na celu zmniejszenie częstości występowania rzutów oraz wydłużenie czasu trwania remisji i ograniczenia ryzyka wystąpienia utrwalonej niepełnosprawności.

Przedmiotem wniosku jest objęcie refundacją produktu leczniczego Mavenclad (kladrybina) w postaci doustnej w leczeniu stwardnienia rozsianego w ramach programu lekowego [REDACTED]

Dowody naukowe

Dostępne dane naukowe pochodzą z badania CLARITY i badania CLARITY EXTENSION. Wykazano, że zastosowanie kladrybiny w porównaniu z placebo wiąże się z redukcją o 58% rocznego wskaźnika nawrotów ($p < 0.001$), ze zmniejszeniem o 56% ryzyka wystąpienia trwałej progresji niepełnosprawności, skrócenie o 33% czasu ryzyka wystąpienia pierwszego nawrotu (współczynnik ryzyka 0,67; 95% CI, 0,48 do 0,93; $p = 0,02$), 74% względną



redukcję w liczbie nowych zmian pojawiających się w badaniu MRI. W fazie przedłużonej odnotowano ARR na poziomie 0,15 (97,5% CI 0,09; 0,21), zbliżone do obserwacji w badaniu głównym, co wskazuje na stabilność efektu w perspektywie 4 lat.

Porównanie pośrednie wykazało, że zastosowanie kladrybiny wiąże się z istotnie statystycznie mniejszym prawdopodobieństwem wystąpienia nawrotu, rozumianego jako rzut SM w ciągu roku w porównaniu ze wszystkimi finansowanymi technologiami, za wyjątkiem fumaranu dimetylu, z którym jest porównywalny. Kladrybina przyczynia się również do istotnego zwiększenia szansy na brak aktywności choroby w ocenie klinicznej i rezonansowej po okresie dwóch lat, wobec dostępnych dla porównań opcji terapeutycznych. Nie wykazano jednak różnic w efekcie ochronnym przed postępem niepełnosprawności rozumianym jako potwierdzona progresja choroby utrzymującą się przez 3 okresy miesięcy po 24 miesiącach od zastosowania.

Profil bezpieczeństwa kladrybiny był zadowalający. Najczęściej spotkanym działaniem niepożądanym była limfocytopenia (w większości stopniowana jako łagodna lub umiarkowana). Występowanie nowotworów (w tym łagodnych, złośliwych lub nieokreślonych) zgłaszano jako poważne zdarzenie niepożądane u 1,4% pacjentów leczonych kladrybiną w porównaniu z brakiem u pacjentów w grupie placebo.

Należy zauważyć, że badanie CLARITY nie było z góry ukierunkowane na osoby z wysoką aktywnością choroby. Brak jest także danych naukowych pochodzących z bezpośrednich porównań z lekami stosowanymi w programie B29 jak i B46.

Problem ekonomiczny

Koszt stosowania kladrybiny porównano w analizie użyteczności kosztów z lekami dostępnymi w programie B.29, w tym IFNb-1a, IFNb-1b, fumaranem dimetylu, octanem glatirameru i teryflunomidem.

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy stosowanie kladrybiny w miejsce leków z programu B.29 jest [redacted] z perspektywy wspólnej (NFZ + pacjenta). Oszacowany ICUR dla porównania kladrybina vs octan glatirameru wyniósł [redacted] i 186 tys. zł bez RSS. Dla pozostałych porównań ICUR wyniósł [redacted] i od 129 do 156 tys. bez RSS.

Ograniczeniem przedstawionej analizy ekonomicznej jest brak modelowania kolejnych linii leczenia. W modelu ekonomicznym wnioskodawcy pacjenci po zakończeniu leczenia kladrybiną lub jednym z komparatorów przechodzą na leczenie objawowe, co nie odpowiada praktyce klinicznej leczenia SM.

Wyniki analizy wpływu na budżet wskazują, że objęcie refundacją leku Mavenclad spowoduje [redacted] kosztów podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych w każdym z wariantów analizy (prawdopodobnym, minimalnym i maksymalnym). Inkrementalne

wydatki z uwzględnieniem RSS [redacted] w 1. roku refundacji i [redacted] w 2. roku refundacji.

Odnaleziono łącznie osiem rekomendacji dotyczących finansowania kladrybiny w tabletkach. W rekomendacjach pozytywnych zwraca się głównie uwagę na efektywność kosztową leczenia (NCPE 2018, NICE 2019, PBAC 2018), przewagę w skuteczności kladrybiny w tabletkach w porównaniu do placebo (CADTH 2018, NICE 2019, SMC 2018) oraz podobną wartość terapeutyczną z fingolimodem (ZIN 2018). Pozytywna rekomendacja została również wydana przy jednoczesnej informacji o braku udowodnionych dodatkowych korzyści z zastosowania kladrybiny w tabletkach w porównaniu do komparatorów (HAS 2020, GBA/IQWiG 2018).

Główne argumenty decyzji

Kladrybina jest lekiem o potwierdzonej dobrej skuteczności klinicznej w leczeniu SM. Metaanaliza sieciowa wykazała jej wyższą skuteczność, w porównaniu lekami aktualnie finansowanymi w programie B29, poza fumaranem dimetylu, którego efektywność była porównywalna. Niemniej brak jest porównań bezpośrednich pomiędzy kladrybiną zarówno z lekami stosowanymi w ramach programu B29 jak i B46, co utrudnia wnioskowanie dotyczące efektywności leku. Profil bezpieczeństwa leku wydaje się akceptowalny. Zgodnie z większością wytycznych klinicznych lek jest zalecany u pacjentów z niewystarczającą odpowiedzią na DMT lub u pacjentów z wysoką aktywnością choroby. W chwili obecnej toczą się liczne badania w populacji pacjentów z SM, w tym także z aktywnymi komparatorami.

Analiza ekonomiczna wskazała, że stosowanie kladrybiny jest [redacted] będzie się wiązała ze [redacted]. Dodatkowo w analizie nie uwzględniono ewentualnych dodatkowych kosztów związanych z leczeniem innymi DMT u pacjentów nie odpowiadających na leczenie kladrybiną.

W związku z powyższym analiza ekonomiczna powinna być traktowana z ostrożnością.

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.4231.39.2021 „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu produktu leczniczego Mavenclad (kladrybina) w ramach programu lekowego Leczenie stwardnienia rozsianego (ICD-10 G35)”, data ukończenia: 10.11.2021 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

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

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Merck sp. z o.o.).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Merck 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: Merck sp. z o.o.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezisie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 128/2021 z dnia 22 listopada 2021 roku
w sprawie oceny leku Gardasil, szczepionka przeciw wirusowi
brodawczaka ludzkiego [typy 6, 11, 16, 18]
(rekombinowana, adsorbowana)

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Gardasil, szczepionka przeciw wirusowi brodawczaka ludzkiego [typy 6, 11, 16, 18] (rekombinowana, adsorbowana), zawieszina do wstrzykiwań, 1, amp.-strzyk. 0,5 ml + 2 igły, kod GTIN: 00191778016130, we wskazaniu: zapobieganie wystąpienia u osób w wieku od 9 lat: zmian przednowotworowych narządów płciowych (szyjki macicy, sromu i pochwy), zmian przednowotworowych odbytu, raka szyjki macicy oraz raka odbytu, związanych przyczynowo z zakażeniem pewnymi onkogennymi typami wirusa brodawczaka ludzkiego (HPV); brodawek narządów płciowych (kłykcin kończystych) związanych przyczynowo z zakażeniem określonymi typami wirusa brodawczaka ludzkiego, jako leku dostępnego w aptece na receptę, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie go za odpłatnością 50%, pod warunkiem obniżenia ceny do poziomu zbliżonego do poziomu szczepionki obecnie refundowanej.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Wirus brodawczaka ludzkiego (HPV) prowadzi do zakażenia w obrębie skóry i błon śluzowych. Zidentyfikowano ok. 40 typów wirusa, które są odpowiedzialne za zakażenia narządów moczowo-płciowych kobiet i mężczyzn. Typy wysokoonkogenne mające szczególne znaczenie w populacji europejskiej to typy 16, 18, 31, 33, 35, 45, 56 i 58, przy czym typy 16 i 18 są odpowiedzialne aż za 73% wszystkich przypadków raka szyjki macicy (RSzM). Poza rozwojem RSzM zakażenia tymi wirusami mogą prowadzić również do innych nowotworów: odbytu, prącia, sromu, jamy ustnej i krtani. Typy niskoonkogenne, w szczególności 6 i 11, są zaś odpowiedzialne za powstawanie brodawek narządów moczowo-płciowych.

Gardasil jest zawierającą adiuwant, niezakaźną, rekombinowaną, czterowalentną szczepionką otrzymaną z wysokooczyszczonych, wirusopodobnych cząsteczek głównego białka L1 kapsydu wirusów HPV typu 6,



11, 16 i 18. Wirusopodobne cząsteczki nie zawierają wirusowego DNA, dlatego nie mają zdolności zakażenia komórek, namnażania się ani wywoływania choroby.

Wnioskowane wskazanie jest zgodne ze wskazaniem rejestracyjnym. Zgodnie z ChPL u osób w wieku od 9 do 13 lat włącznie Gardasil może zostać podany zgodnie z 2 dawkowym schematem (0,5 ml w 0, 6 miesiącu). Jeżeli druga dawka jest podana wcześniej niż po 6 miesiącach od podania pierwszej dawki, należy zawsze podać trzecią dawkę. Gardasil może być podany również w schemacie 3 dawkowym (0,5 ml w 0, 2, 6 miesiącu). U osób w wieku 14 lat i starszych Gardasil należy podawać zgodnie z 3 dawkowym schematem (0,5 ml w 0, 2, 6 miesiącu).

Wnioskodawca w ramach analizy ekonomicznej oraz wpływu na budżet płatnika założył jednak, że objęta szczepieniami zostanie populacja kobiet (dziewcząt) w wieku od 9 lat. Analizy te obejmują zatem populację węższą od wnioskowanego wskazania.

Od 1 listopada 2021 r. objęta refundacją jest szczepionka Cervarix, z dostępnością w aptece na receptę we wszystkich zarejestrowanych wskazaniach, za odpłatnością 50%. W stanowisku nr 54/2021 z dnia 17 maja 2021 r. Rada Przejrzystości uznała za zasadne objęcie tego produktu leczniczego refundacją. Rada stanęła przy tym na stanowisku, że dostępne szczepionki przeciw onkogennym typom wirusa brodawczaka ludzkiego powinny być objęte wspólną grupą limitową. Rada uznała ponadto za zasadne podjęcie negocjacji odnośnie instrumentu dzielenia ryzyka do poziomu cen rynkowych konkurencyjnych szczepionek przeciw HPV.

Dowody naukowe

Liczne badania kliniczne i obserwacyjne potwierdzają skuteczność szczepionek przeciwko HPV w zapobieganiu zdarzeniom związanych z zakażeniem HPV, w tym skuteczność w zakresie istotnych klinicznie punktów końcowych. W niedawno opublikowanej publikacji Falcaro 2021 przedstawiono wyniki badania obserwacyjnego opartego na rejestrach, oceniającego efekty krajowego programu szczepień w Wielkiej Brytanii. Początkowo szczepieniami objęto dziewczęta w wieku 12-13 lat, w kolejnych latach prowadzono szczepienia wyrównawcze u dziewcząt w wieku 14-18 lat. Od 2019 r. szczepionka podawana jest również chłopcom. Obserwację prowadzono w grupie 13,7 mln kobiet. Porównano częstość występowania RSzM i stanów przedrakowych w postaci śródnabłonkowej neoplazji szyjki macicy stopnia 3 (CIN3) przed i po wprowadzeniu programu szczepień. Największą redukcję zachorowalności na RSzM (o 87%) obserwowano wśród kobiet, którym zaoferowano szczepionkę, gdy były w wieku 12–13 lat (obecnie są w wieku 20 lat). W grupie nastolatków zaszczepionych w wieku 14-16 lat odnotowano spadek na poziomie 75%,

a w grupie wiekowej 16-18 lat odnotowano spadek o 34%. Podobnie największą redukcję występowania stanów przedrakowych CIN3, wynoszącą 97%, odnotowano wśród kobiet, którym zaoferowano szczepionkę, gdy były w wieku 12–13 lat, w grupie wiekowej 14-16 lat odnotowano spadek na poziomie 75%, a w grupie wiekowej 16-18 lat wynoszącą 39%. Badanie dostarcza pierwszych bezpośrednich dowodów na wpływ programu szczepień przeciw HPV szczepionką dwuwalentną na zachorowalność RSzM. Do czerwca 2019 r. odnotowano około 450 mniej przypadków RSzM i 17 200 mniej stanów przedrakowych CIN3 w porównaniu do sytuacji oczekiwanej, gdyby szczepienia nie były realizowane.

Przedstawione przez wnioskodawcę dowody naukowe potwierdzają skuteczność szczepionki Gardasil w populacji dziewcząt od 9 r.ż. i młodych kobiet, natomiast brak jest danych w zakresie skuteczności względem jedynej obecnie refundowanej szczepionki w Polsce, tj. Cervarix.

Problem ekonomiczny

Analiza ekonomiczna zawiera wiele ograniczeń, stąd oszacowane wartości ICUR dla porównania Gardasil vs brak szczepień/Cervarix cechują się niską wiarygodnością. Nie przedstawiono dokładnych źródeł przyjętych parametrów dotyczących skuteczności, a wyniki analizy klinicznej wskazują na przewagę Gardasil względem Cervarix tylko w zakresie krótkoterminowego bezpieczeństwa. Wątpliwość budzi też brak uwzględnienia rzeczywistych kosztów ponoszonych przez NFZ na leczenie raka szyjki macicy i kłykcin kończystych, a także przyjęty poziom wyszczepialności.

Głównymi ograniczeniami analizy wpływu na budżet płatnika publicznego są niepewność związana z przyszłym odsetkiem zaszczepionych, wielkość udziału w rynku szczepionki Gardasil oraz brak uwzględnienia szczepienia populacji mężczyzn w oszacowaniach.

Główne argumenty decyzji

Wytyczne praktyki klinicznej wskazują szczepienia przeciwko HPV jako ważny element profilaktyki przed m.in. RSzM. Odnalezione zalecenia rekomendują wykonywanie szczepień jak najwcześniej, z uwagi na optymalną odpowiedź immunologiczną, zarówno u kobiet jak i u mężczyzn.

Zgodnie z Programem Szczepień Ochronnych na 2022 rok szczepienia przeciw wirusowi brodawczaka ludzkiego należą do grupy szczepień zalecanych (szczególnie osobom od ukończenia 9 roku życia). Z kolei Narodowa Strategia Onkologiczna na lata 2020–2030 przewiduje wprowadzenie refundacji szczepień przeciwko HPV dla chłopców i dziewcząt w wieku dojrzewania, wskazując na oczekiwany rezultat w postaci zaszczepienia przynajmniej 60% dziewcząt i chłopców w wieku dojrzewania przeciwko HPV do końca 2028 r. Do Sejmu został skierowany 2 sierpnia 2021 r. projekt ustawy umożliwiającej Ministrowi Zdrowia zakup szczepionek zalecanych w ramach PSO (druk nr 1449), co pozwoliłoby

na realizację celów wyznaczonych w NSO. Dotąd nie odbyło się jednak jego pierwsze czytanie.

Poziom wyszczepienia przeciw HPV w Polsce jest bardzo niski, znacząco odbiegając od oczekiwanego w NSO minimum. Zasadnym jest zatem wprowadzenie refundacji połączonej z propagowaniem szczepień w podstawowej opiece zdrowotnej. W przypadku zaś niedostatecznego wzrostu w kolejnym kroku należy rozważyć wprowadzenie szczepienia przeciw HPV jako szczepienia obowiązkowego. Rada zauważa potrzebę zagwarantowania ewentualnego zwiększenia liczby dostarczanych szczepionek przez podmiot odpowiedzialny w przypadku zwiększonego zapotrzebowania na szczepienie.

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.4230.19.2021 „Wniosek o objęcie refundacją leku Gardasil, szczepionka przeciw wirusowi brodawczaka ludzkiego [typy 6, 11, 16, 18] we wskazaniu: zapobieganie wystąpienia u osób w wieku od 9 lat: zmian przednowotworowych narządów płciowych (szyjki macicy, sromu i pochwy), zmian przednowotworowych odbytu, raka szyjki macicy oraz raka odbytu, związanych przyczynowo z zakażeniem pewnymi onkogennymi typami wirusa brodawczaka ludzkiego (HPV); brodawek narządów płciowych (kłykcin kończystych) związanych przyczynowo z zakażeniem określonymi typami wirusa brodawczaka ludzkiego”, data ukończenia: 10 listopada 2021 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 129/2021 z dnia 22 listopada 2021 roku

w sprawie oceny leku Vitrakvi (larotrectinibum) w ramach programu lekowego „Leczenie guzów litych, które wykazują fuzję genu receptorowej kinazy tyrozynowej dla neurotrofin (NTRK)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktów leczniczych:

- *Vitrakvi (larotrectinibum) kapsułki twarde, 25 mg, 56 kaps., kod EAN: 04057598011792,*
- *Vitrakvi (larotrectinibum) kapsułki twarde, 100 mg, 56 kaps., kod EAN: 04057598011815,*
- *Vitrakvi (larotrectinibum) roztwór doustny, 20 mg/ml, 1 butelka 100 ml, kod EAN: 04057598011808,*

w ramach programu lekowego „Leczenie guzów litych, które wykazują fuzję genu receptorowej kinazy tyrozynowej dla neurotrofin (NTRK)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Produkt leczniczy Vitrakvi podlegał ocenie Agencji w 2020 r. trzykrotnie. Dwie oceny dotyczyły wydawania zgód na refundację w ramach importu docelowego a jedna ratunkowego dostępu do technologii lekowej. W przypadku oceny w ramach importu docelowego we wskazaniu desmoplastyczny guz drobnookrągłokomórkowy (DSRCT) w postaci rozsianej stanowisko Rady i Prezesa były rozbieżne. Rada Przejrzystości wydała pozytywne stanowisko, pod warunkiem stosowania leku u pacjentów w dobrym stanie klinicznym (0-2 w skali ECOG), z guzem, który wykazuje fuzję genu NTRK, jeśli nie jest możliwe radykalne leczenie chirurgiczne lub nie przyniosło ono zadowalających efektów, oraz w przypadku braku możliwości udziału pacjenta w toczących się badaniach klinicznych nad inhibitorami NTRK. W rekomendacji Prezesa Agencji zaznaczono, iż negatywna decyzja wynika z braku dowodów naukowych potwierdzających skuteczność kliniczną terapii we wnioskowanej populacji docelowej oraz z wysokich jednostkowych kosztów refundacji terapii i znacznego ryzyka wysokich całkowitych kosztów refundacji terapii. W przypadku oceny zasadności



wydawania zgód na refundację wnioskowanej technologii we wskazaniu rak brodawkowaty tarczycy z obecnością genu fuzyjnego NTRK1 u pacjenta pediatrycznego po leczeniu operacyjnym (subtotalnej resekcji tarczycy) i leczeniu radioaktywnym jodem Stanowisko Rady Przejrzystości, jak i Prezesa Agencji było pozytywne. W przypadku analizowanego wniosku wyczerpano wszystkie dostępne i refundowane opcje terapeutyczne. Również w przypadku oceny RDTL we wskazaniu rak brodawkowaty tarczycy (ICD-10: C73) u pacjenta pediatrycznego opinia Rady Przejrzystości oraz Agencji były pozytywne i wskazywały na bardzo dobry profil skuteczności i bezpieczeństwa leku.

Zgodnie z zapisami Ustawy o Funduszu Medycznym larotrekty nib w 2021 r. podlegał ocenie AOTMiT w zakresie wykazu technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności.

Problem zdrowotny

Wnioskowane wskazanie obejmuje różne typy guzów litych wykazujących fuzję genu receptorowej kinazy tyrozynowej dla neurotrofin (NTRK, ang. Neurotrophic Tyrosine Receptor Kinase). Fuzja ww. genu jest określana jako główny czynnik onkogenny i podstawowa przyczyna wielu różnych typów guzów litych (niezależnie od ich umiejscowienia i typu tkanki) u osób w każdym wieku. Fuzje genów NTRK (1 lub 2 lub 3) z innymi genami powodują powstanie nieprawidłowych białek TRK (ang. Tyrosine Receptor Kinase – receptor kinazy receptora tropomyozyiny), które uruchamiają dalsze procesy prowadzące do rozwoju nowotworu. Fuzje NTRK występują z małą częstością w powszechnych nowotworach dorosłych, np. < 1% w niedrobnokomórkowym raku płuca i 1-2% w raku jelita grubego, częściej obserwowane są w niektórych nowotworach rzadkich. Ogólną częstość występowania fuzji NTRK szacuje się na 0,25-0,31% u dorosłych i 0,34-0,49% u dzieci z nowotworem (wg EPAR ok. 0,3%).

Dowody naukowe

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Brak jest wyników randomizowanych prób klinicznych. Wnioskodawca oparł analizę o nieopublikowane dane. Wyniki 3 jednoramiennych koszykowych badań klinicznych (LOXO-TRK-140001, SCOUT i NAVIGATE) posłużyły do opracowania charakterystyki i jako dodatkowe źródło wyników,

Wyniki badań dla larotrekty nibu zostały przedstawione w podziale na 3 populacje: populacja ePAS4 (164 chorych dorosłych i dzieci), SAS3 (24 chorych dorosłych i dzieci z pierwotnymi guzami OUN) oraz populacja PAS (obejmuje pierwszych 55 chorych włączonych do badania).

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

Rekomendacje refundacyjne dotyczące ocenianej technologii medycznej

W wyniku wyszukiwania odnaleziono rekomendacje 5 organizacji: 3 pozytywne warunkowo – CADTH 2021 (ponowna ocena), Zorginstituut Nederland 2021, NICE 2020, 1 pozytywną G-BA 2020 (wskazano, iż lek jest rekomendowany, jednocześnie wymieniając liczne ograniczenia wnioskowania) oraz 1 pozytywną warunkową jedynie dla części wnioskowanych wskazań (HAS 2020).

W rekomendacji CADTH 2021 wskazano na istotną niepewność w ocenie wielkości obserwowanej odpowiedzi na leczenie i długotrwałej skuteczności terapii, podkreślono jednak rzadki charakter rozpatrywanych wskazań. Analiza NICE 2020 wskazała na brak dowodów na skuteczność larotrektynybu we wszystkich rodzajach guzów wykazujących fuzję genu NTRK oraz na niepewność oszacowań efektywności kosztowej. W rekomendacji G-BA 2020 wskazano, iż larotrektynyb może być odpowiednią opcją leczenia w niektórych przypadkach, jednak nie wykazano dodatkowej korzyści względem komparatora – BSC. Wskazano, iż oddzielne rozpatrywanie wyników w podziale na jednostki nowotworowe jest zasadne. Podobnie jak w rekomendacji CADTH 2021 i Zorginstituut Nederland 2021 zwrócono uwagę na niepewność oszacowań populacyjnych.

Rekomendacja francuskiej organizacji HAS z 2020 r. była pozytywna warunkowo jedynie w zakresie leczenia dzieci z nawrotowym i opornym, lokalnie zaawansowanym lub przerzutowym niemowlęcym włókniakomięsakiem lub innym mięsakiem tkanek miękkich z fuzją genu NTRK. W dokumencie wskazano m.in. na niską wiarygodność danych oraz na mało prawdopodobny wpływ Vitrakvi stosowanego we wskazanej powyżej populacji na zdrowie publiczne. Komitet uznał, że korzyść kliniczna produktu Vitrakvi jest niewystarczająca u osób dorosłych ze wskazaniem rejestracyjnym, aby uzasadnić jego finansowanie ze środków publicznych.

Problem ekonomiczny

[REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE] W opinii analityków Agencji analiza wnioskodawcy obarczona jest licznymi ograniczeniami. [REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE] Wnioskodawca reprezentuje stanowisko tumor-agnostyczne, jednocześnie [REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE] a jego rozważania odnoszą się do konkretnych typów histologicznych, [REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE] Wszystkie opisane ograniczenia dotyczące populacji mogą w konsekwencji prowadzić do niedoszacowania ostatecznej liczby chorych objętych wnioskowanym wskazaniem.

Główne argumenty decyzji

Negatywna decyzja Rady wynika głównie z braku dojrzałych wyników badań naukowych potwierdzających skuteczność kliniczną terapii we wszystkich wnioskowanych wskazaniach. Wprowadzone powinny być również odpowiednie zapisy w programie lekowym minimalizujące ryzyko nieuzasadnionego zastosowania terapii. Wnioskodawca powinien obniżyć cenę leku

[REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE] Modyfikacji wymaga także program lekowy, w zakresie m.in:

[REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE]

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.4231.42.2021 „Wniosek o objęcie refundacją leku Vitrakvi (larotrectinibum) w ramach programu lekowego: »Leczenie guzów litych, które wykazują fuzję genu receptorowej kinazy tyrozynowej dla neurotrofin (NTRK)«, data ukończenia: 9 listopada 2021 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

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



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 130/2021 z dnia 22 listopada 2021 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka
spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego
EAA Supplement we wskazaniu: hiperamonemia

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego EAA Supplement, proszek do sporządzania zawiesiny doustnej, saszetki 12,5 g, we wskazaniu: hiperamonemia, sprowadzanego z zagranicy w ramach importu docelowego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Hiperamonemia jest definiowana jako stężenie amoniaku w osoczu $>50 \mu\text{mol/l}$ ($>100 \mu\text{mol/l}$ u noworodków). Hiperamonemia odnosi się do wrodzonych deficytów enzymów uczestniczących w cyklu mocznikowym. Poza niedoborem karbamoiltransferazy ornitynowej, który jest chorobą sprzężoną z płcią, wszystkie zaburzenia cyklu mocznikowego są dziedziczone autosomalnie recesywnie. Częstość występowania hiperamonemii szacuje się na 1:35 000 – 1:69 000 żywych urodzeń. Celem leczenia jest utrzymywanie normalnego stężenia amoniaku we krwi, polega na stosowaniu diety niskobiałkowej. Stosuje się również leki obniżające poziom azotu w cyklu mocznikowym, tj. benzoesan sodu i/lub fenylomaślan sodu, suplementację argininy i/lub cytruliny, suplementację EAA. Suplementacja EAA jest konieczna, gdy tolerancja na białka pochodzące z żywności jest zbyt niska. Stosowanie EAA powinno zapewnić od 20% do 30% całkowitego spożycia białka. Wczesna diagnoza, odpowiednie prowadzenie i leczenie epizodów hiperamonemii pozwalają uniknąć powikłań. Mimo to długotrwałe powikłania (tj. opóźnienie rozwoju, zaburzenia neurologiczne, choroby wątroby) są dość częste i mają negatywny wpływ na jakość i długość życia.

EAA Supplement jest przeznaczony do postępowania dietetycznego w zaburzeniach cyklu mocznikowego (UCD) i innych zaburzeniach metabolizmu białek, przy których wskazane są aminokwasy egzogenne, dla pacjentów od 3 roku życia.



Dowody naukowe

Zalecenia w przypadku wystąpienia hiperamonemii rekomendują zastosowanie diety niskobiałkowej, leków obniżających poziom azotu w cyklu mocznikowym, tj. benzoesu sodu i/lub fenylomałanu sodu, suplementacji argininy i/lub cytruliny, suplementacji EAA. Suplementacja EAA jest konieczna, gdy tolerancja na białka pochodzące z żywności jest zbyt niska. Stosowanie EAA powinno zapewnić od 20% do 30% całkowitego spożycia białka.

Problem ekonomiczny

Produkt EAA Supplement był refundowany w ramach importu docelowego we wskazaniu hiperamonemia. Minister Zdrowia wydał w 2020 roku 8 zgód dla 6 pacjentów (razem 40 opakowań) na łączną kwotę 46 034,40 zł.

Populacja dotycząca hiperamonemii pierwotnej stanowi niewielką grupę pacjentów (38 i 85 zdiagnozowanych zaburzeń), biorąc pod uwagę możliwość stwierdzenia u jednego pacjenta kilku zaburzeń cyklu mocznikowego jednocześnie, liczebność grupy docelowej nie powinna przekraczać 100 osób, maksymalnie 15 nowych przypadków rocznie, jednak brak jest dokładnych danych o populacji docelowej. Oszacowanie wpływu sfinansowania przedmiotowej technologii w ramach importu docelowego na wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorców jest praktycznie niemożliwe.

Cena środka spożywczego specjalnego przeznaczenia EAA Supplement, proszek do sporządzania zawiesiny doustnej 12,5 g, opakowanie 50 saszetek, wynosi 1 150,86 zł i jest szacunkową ceną brutto sprzedaży leku do apteki zawierającą marżę hurtową.

Oprócz produktu EAA Supplement w ocenianym wskazaniu sprowadzano również inne śsspz, tj. Arginine 2000, Dialamina, Cytrulina, Essential Amino Acid Mix, Isoleucine 50, L-Lysine, MCT Peptide, Milupa UCD 2 prima, Milupa Basic-p, UCD Amino 5, UCD Anamix Junior, UCD Trio.

Główne argumenty decyzji

1. W hiperamonemii stosowanie EAA powinno zapewnić od 20% do 30% całkowitego spożycia białka.
2. Konieczność stosowania zindywidualizowanych schematów dietetycznych zawierających jednak EAA.

3. *Zgodnie z Obwieszczeniem MZ z dnia 21 października 2021 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 listopada 2021 r. (Dz. Urz. Min. Zdr. z 2021.82) aktualnie ze środków publicznych brak jest refundowanych produktów we wskazaniu hiperamonemia.*

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 2021 r., poz. 1285, z późn. zm.) oraz w zw. z art. 39 ust. 3 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 523), z uwzględnieniem opracowania nr: OT.4211.34.2021 „EAA Supplement we wskazaniu: hiperamonemia”, data ukończenia: 16 listopada 2021 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 173/2021 z dnia 22 listopada 2021 roku
o projekcie programu „Program edukacji zdrowotnej – pierwsza pomoc przedmedyczna – dla pracowników Starostwa Powiatowego w Bieruniu i Powiatowych Jednostek Organizacyjnych”
(pow. bieruńsko-lędzki)

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program edukacji zdrowotnej – pierwsza pomoc przedmedyczna – dla pracowników Starostwa Powiatowego w Bieruniu i Powiatowych Jednostek Organizacyjnych” (pow. bieruńsko-lędzki), pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady i zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

Projekt programu dotyczy przeprowadzenia teoretycznych i praktycznych szkoleń z zakresu udzielania pierwszej pomocy przedmedycznej oraz zakupu automatycznego kardiowertera-defibrylatora.

Grupę, która ma zostać objęta programem stanowią pracownicy Starostwa Powiatowego w Bieruniu oraz jednostek organizacyjnych powiatu bieruńsko-lędzkiego w liczbie 100 osób.

Przedstawiony do oceny Program nie spełnia kryteriów określonych w rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 22 grudnia 2017 r. w sprawie wzoru programu polityki zdrowotnej, wzoru raportu końcowego z realizacji programu polityki zdrowotnej oraz sposobu sporządzenia projektu programu polityki zdrowotnej i raportu końcowego z realizacji programu polityki zdrowotnej (DzU. poz. 2476), w zakresie celów programu, kryteriów kierowania na szkolenie, oceny efektywności interwencji. Cele programu, mierniki i wskaźniki określone w ewaluacji zostały sformułowane nieprawidłowo. W programie zaplanowano przeprowadzenie szkoleń teoretycznych i praktycznych z zakresu udzielania pierwszej pomocy przedmedycznej, nie określono jednak szczegółowego zakresu interwencji edukacyjnych. Nie przedstawiono protokołów/przewodników zawierających treści realizowanych interwencji edukacyjnych. Dowody naukowe wysokiej jakości wskazują, że indywidualna, pogłębiona edukacja zwiększa poziom wiedzy i winna być prowadzona przez przeszkolony personel, posiadający aktualną wiedzę i jednolite protokoły postępowania (Noman i in., 2021). W zakresie populacji nie wskazano odsetka osób przeszkolonych, kryteriów



kierowania na szkolenie. Projekt programu nie zakłada przeprowadzania szkoleń wzmacniających (BT), których celem byłoby odświeżenie oraz utrwalenie nabytej wiedzy. Wyniki badań klinicznych wskazują, że szkolenia typu BT zwiększają stopień utrwalania wiedzy teoretycznej utrwalania praktycznych (Yeung 2020, Riggs 2019, Hsieh 2016, Plant 2013, Yeung 2011). Dowody naukowe (Yeung 2020, Yu 2020, Riggs 2019, Plant 2013) oraz wytyczne (ERC 2015) zalecają możliwie jak najszerszy dostęp do szkoleń z zakresu BLS/AED. Również zgodnie z uzyskanymi opiniami ekspertów programy szkoleń z zakresu BLS powinny być kierowane do jak najszerszego grona odbiorców oraz zawierać treści nauczania. W programie nie zaplanowano pre-testu, uniemożliwiając tym samym pomiar wiedzy, nie wskazano również narzędzia do pomiaru umiejętności uczestników szkoleń. Podejście takie nie jest zgodne z kryteriami ewaluacji szkoleń BLS wskazanymi w badaniach klinicznych, w których zdawalność testów wiedzy przeprowadzanych przed i po zakończeniu szkolenia (pre- i post-testów) była powszechnie stosowanym narzędziem weryfikacji wiedzy (Lau 2018, Hsieh 2016, Plant 2013).

Dodatkowo wnioskodawca nie udzielił szczegółowych informacji o sprzęcie, który będzie wykorzystywany podczas szkoleń. Prowadzenie szkoleń na wypadek wprowadzenia obostrzeń spowodowanych epidemią COVID-19 również nie zostało, przez organizatora, opisane.

Uwaga Rady:

Zakup kardiowertera defibrylatora, udostępnionego do użytku w miejscu publicznym, jest w pełni wskazany, należy jednak szczegółowo określić program szkoleń, zgodnie z uwagami zawartymi w raporcie AOTMiT.

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.431.97.2021 „Program edukacji zdrowotnej – pierwsza pomoc przedmedyczna – dla pracowników Starostwa Powiatowego w Bieruniu i Powiatowych Jednostek Organizacyjnych”, data ukończenia: listopad 2021 oraz Aneksu do raportów szczegółowych „Programy polityki zdrowotnej dotyczące edukacji oraz innych działań w zakresie udzielania pierwszej pomocy przedmedycznej – wspólne podstawy oceny” z kwietnia 2021 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 174/2021 z dnia 22 listopada 2021 roku

o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców Gminy Kobylnica w wieku 65 lat i więcej na lata 2022-2025”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców Gminy Kobylnica w wieku 65 lat i więcej na lata 2022-2025”, pod warunkiem uwzględnienia uwag z raportu AOTMiT.

Uzasadnienie

Opiniowany projekt wpisuje się w priorytet „rehabilitacji”, należący do priorytetów zdrowotnych wymienionych w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dn. 27 lutego 2018 r. (Dz.U. z 2018 r., poz. 469).

Zgodnie z rekomendacjami i wytycznymi zaleca się, aby pacjenci otrzymywali tyle świadczeń terapeutycznych, ile „potrzebują”, aby odzyskać i/lub wrócić do optymalnego osiągnięcia niezależności funkcjonowania (NSF 2017, VHA-DoD 2010). Ćwiczenia fizyczne powinny być istotnym elementem rehabilitacji osób z chorobą zwyrodnieniową stawów, niezależnie od wieku, chorób współistniejących, nasilenia bólu lub niepełnosprawności (RACGP 2018, NICE 2014).

Do zalet programu należy badanie lekarskie przed rozpoczęciem planu rehabilitacyjnego. Wnioskodawca podkreśla, że indywidualny plan rehabilitacyjny zostanie określony na podstawie rodzajów i liczby zabiegów wskazanych w skierowaniu na rehabilitację leczniczą od lekarza POZ/lekarza specjalisty/fizjoterapeuty. Czas jednego spotkania rehabilitacyjnego zależeć będzie od rodzaju schorzenia i rodzaju zaleconych zabiegów.

Do podstawowych uwag należą:

- Większość celów szczegółowych została sformułowana w sposób niepoprawny (nie odnoszący się do efektu zdrowotnego, niemożliwy do zrealizowania, dwa odrębne założenia w jednym celu, brak wartości docelowej).*



- *Nie przedstawiono poprawnie sformułowanego miernika efektywności do celu głównego oraz większości celów szczegółowych (poza celem dot. wzrostu wiedzy).*
- *Działania edukacyjne przedstawiono w sposób zdawkowy oraz nie uwzględniono ich w opisie etapów*

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.431.98.2021 „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców Gminy Kobylnica w wieku 65 lat i więcej na lata 2022-2025”, data ukończenia: listopad 2021 oraz Aneksu do raportów szczegółowych „Programy z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży – wspólne podstawy oceny” z sierpnia 2016.