



**Rada Przejrzystości**  
działająca przy  
**Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji**

BP.401.59.2021.LAn

**Protokół nr 56/2021**  
**z posiedzenia Rady Przejrzystości**  
**w dniu 20 grudnia 2021 roku**  
**w formie wideokonferencji**

Michał Myśliwiec otworzył posiedzenie o godzinie 10:12.

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

1. Anna Gręziak
2. Maciej Karaszewski
3. Adam Maciejczyk
4. Michał Myśliwiec
5. Rafał Niżankowski
6. Tomasz Pasierski
7. Jakub Pawlikowski
8. Rafał Suwiński
9. Janusz Szyndler

Członkowie Rady nieobecni na posiedzeniu:

1. Barbara Jaworska-Łuczak

Proponowany porządek obrad:

1. Ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Adcetris (brentuximabum vedotinum) w ramach programu lekowego: „Leczenie chorych na chłoniaki CD30+ (C81; C84.5)”.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Vyndaqel (tafamidisum) w ramach programu lekowego: „Leczenie tafamidisem kardiomiopatii w przebiegu amyloidozы transtyretynowej u dorosłych (ICD-10 E85)”.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Entyvio (vedolizumabum) w ramach programu lekowego: B.32. „Leczenie choroby Leśniowskiego - Crohna (ICD-10 K50)”.
5. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Entyvio (vedolizumabum) w ramach programu lekowego: B.55 „Leczenie wrzodziejącego zapalenia jelita grubego (WZJG)”.
6. Przygotowanie opinii w sprawie zmian w programie lekowym: B.10 „Leczenie raka nerki (ICD-10 C.64)”- kontynuacja.
7. Przygotowanie opinii o projektach programów polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego:



- 1) „Program wspierania leczenia niepłodności mieszkańców miasta Leszna na rok 2022”,
  - 2) „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania nadwagi i otyłości wśród uczniów uczęszczających do szkół podstawowych na terenie Miasta Zielonka”,
  - 3) „Program profilaktyki zdrowia niemowląt w gminie Kaliska na lata 2022-2028”.
8. Zakończenie posiedzenia.

**Ad 1.** Tomasz Pasierski i Rafał Suwiński zgłosili konflikt interesów w zakresie pkt. 6. proponowanego porządku obrad, w związku z czym podczas głosowania ich głos liczony będzie jako wstrzymujący. Żaden z pozostałych członków Rady nie zadeklarował konfliktu interesów.

Rafał Niżankowski złożył wniosek dot. omówienia na posiedzeniu kwestii dot. przejrzystości i jawności danych w dokumentach Rady. Rada postanowiła omówić temat jako ostatni punkt obrad. Michał Myśliwiec złożył wniosek o zmianę kolejności omawiania tematów – zaproponował, aby jako pierwszy omówiony został pkt. 4., następnie pkt. 5., 2. i 3. proponowanego porządku obrad. Rada jednogłośnie (9 głosów „za”) przyjęła zmieniony porządek obrad.

Przyjęty porządek obrad:

1. Ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Entyvio (vedolizumabum) w ramach programu lekowego: B.32. „Leczenie choroby Leśniowskiego - Crohna (ICD-10 K50)”.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Entyvio (vedolizumabum) w ramach programu lekowego: B.55 „Leczenie wrzodziejącego zapalenia jelita grubego (WZJG)”.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Adcetris (brentuximabum vedotinum) w ramach programu lekowego: „Leczenie chorych na chłoniaki CD30+ (C81; C84.5)”.
5. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Vyndaqel (tafamidisum) w ramach programu lekowego: „Leczenie tafamidisem kardiomiopatii w przebiegu amyloidozy transtyretynowej u dorosłych (ICD-10 E85)”.
6. Przygotowanie opinii w sprawie zmian w programie lekowym: B.10 „Leczenie raka nerki (ICD-10 C.64)”- kontynuacja.
7. Przygotowanie opinii o projektach programów polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego:
  - 1) „Program wspierania leczenia niepłodności mieszkańców miasta Leszna na rok 2022”,
  - 2) „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania nadwagi i otyłości wśród uczniów uczęszczających do szkół podstawowych na terenie Miasta Zielonka”,
  - 3) „Program profilaktyki zdrowia niemowląt w gminie Kaliska na lata 2022-2028”.
8. Omówienia kwestii dot. przejrzystości i jawności w dokumentach Rady.
9. Zakończenie posiedzenia.

**Ad 2.** Analityk Agencji przedstawił prezentację o leku Entyvio (wniosek refundacyjny) w ramach programu lekowego dot. leczenia choroby Leśniowskiego i Crohna, a propozycję stanowiska Rady przedstawił Maciej Karaszewski.

W dyskusji Rady uczestniczyli: Janusz Szyndler, Maciej Karaszewski, Jakub Pawlikowski i Tomasz Pasierski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 1 do protokołu).

**Ad 3.** Analityk Agencji podsumował informacje dot. wniosku dla leku Entyvio (wniosek refundacyjny) w ramach programu lekowego dot. leczenia wrzodziejącego zapalenia jelita grubego, a propozycję stanowiska Rady przedstawił Jakub Pawlikowski.

W doprecyzowaniu treści uchwały udział brali Jakub Pawlikowski i Michał Myśliwiec, 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 dane o leku Adcetris (wniosek refundacyjny) w ramach programu lekowego dot. leczenia chłoniaków.

Posiedzenie opuścił Maciej Karaszewski.

Propozycję stanowiska Rady przedstawił Adam Maciejczyk, a Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (8 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 3 do protokołu).

**Ad 5.** Analityk Agencji omówił wniosek dot. Vyndaqel (wniosek refundacyjny) w ramach programu lekowego dot. leczenia kardiomiopatii w przebiegu amyloidozy transtyretynowej, a propozycję stanowiska Rady przedstawił Tomasz Pasierski.

W dyskusji Rady, w wyniku której doprecyzowano treść uchwały, uczestniczyli: Tomasz Pasierski, Michał Myśliwiec i Janusz Szyndler.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 7 głosami „za”, przy 1 głosie przeciw (8 osób obecnych) uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 4 do protokołu).

**Ad 6.** Analityk Agencji omówił kwestie związane z kontynuacją oceny zmian w programie lekowym: „Leczenie raka nerki”. We wstępnej dyskusji Rady głos zabrali Rafał Suwiński i Rafał Niżankowski, a propozycję opinii Rady przedstawił Rafał Niżankowski.

Na posiedzenie powrócił Maciej Karaszewski.

W dalszej dyskusji Rady, w wyniku której doprecyzowano treść uchwały, głos zabrali: Rafał Suwiński, Michał Myśliwiec, Rafał Niżankowski, Adam Maciejczyk i Anna Gręziak.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 7 głosami „za”, przy 2 głosach wstrzymujących, z uwagi na konflikt interesów (9 osób obecnych) uchwaliła opinię (załącznik nr 5 do protokołu).

**Ad 7. 1)** Analityk Agencji zaprezentował szczegóły programu polityki zdrowotnej m. Leszno dot. leczenia niepłodności, a propozycję opinii Rady przedstawił Rafał Suwiński.

Głos w dyskusji Rady zabrali Rafał Niżankowski i Anna Gręziak, po czym Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 5 głosami „za”, przy 4 głosach „przeciw” (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 6 do protokołu).

**2)** Analityk Agencji omówił program polityki zdrowotnej m. Zielonka dot. wykrywania nadwagi i otyłości, a propozycję opinii Rady przedstawił Janusz Szyndler.

Wobec braku głosów w dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 7 do protokołu).

**3)** Analityk Agencji przedstawił specyfikę programu polityki zdrowotnej gm. Kaliska dot. profilaktyki zdrowia niemowląt, a propozycję opinii Rady przedstawiła Anna Gręziak.

Po doprecyzowaniu treści uchwały, w czym udział wzięli: Michał Myśliwiec, Anna Gręziak, Tomasz Pasierski i Maciej Karaszewski, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada

7 głosami „za”, przy 2 głosach „przeciw” (9 osób obecnych) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 8 do protokołu).

**Ad 8.** Rafał Nizankowski omówił kwestię związaną z przejrzystością i jawnością danych występujących w stanowiskach i opiniach Rady. W dyskusji Rady głos zabrali: Tomasz Pasierski, Janusz Szyndler, Rafał Suwiński i Michał Myśliwiec.

Rada jednogłośnie podjęła uchwałę o konieczności zwołania posiedzenia w pełnym składzie w dniu 10 stycznia 2022 r., na którym Rada podejmie ostateczną decyzję w zakresie danych określanych w uchwałach Rady.

**Ad 9.** Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 14:25.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 140/2021 z dnia 20 grudnia 2021 roku

w sprawie oceny leku Entyvio (vedolizumabum) w ramach programu lekowego „Leczenie choroby Leśniowskiego-Crohna (ICD-10 K50)”

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Entyvio (vedolizumabum), roztwór do wstrzykiwań, 108 mg, 2, wstrzyk., kod EAN: 07038319122857 w ramach programu lekowego „Leczenie choroby Leśniowskiego-Crohna (ICD-10 K50)”, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie.*

*Rada Przejrzystości nie zgłasza uwag do propozycji instrumentu dzielenia ryzyka.*

*Rada nie zgłasza uwag do programu lekowego z wyjątkiem jego nazwy (powinno być: „choroby Leśniowskiego i Crohna”).*

#### Uzasadnienie

##### Problem decyzyjny

*Choroba Leśniowskiego i Crohna (ChLC) jest pełnościennym, przeważnie ziarniakowym zapaleniem, które może dotyczyć każdego odcinka przewodu pokarmowego od jamy ustnej aż do odbytu; typowe są odcinkowe zmiany zapalne, przedzielone odcinkami zdrowymi. Choroba ma przebieg przewlekły, wieloletni, zwykle występują naprzemienne okresy zaostrzeń i remisji, ale też często objawy utrzymują się stale i powodują znaczne inwalidztwo oraz konieczność operacji z powodu powikłań choroby. W Polsce zapadalność szacuje się na około 180 -250 nowych przypadków rocznie.*

*Aktualnie w ramach programu lekowego B.32 „Leczenie choroby Leśniowskiego i Crohna (ICD-10 K50) lekami biologicznymi leczonych jest ok. 2200 pacjentów.*

*Wniosek dotyczy refundacji dla leku Entyvio (vedolizumabum) do podawania podskórnego,*

*Aktualnie w programie lekowym „Leczenie choroby Leśniowskiego-Crohna (ICD-10 K50)” jest refundowana dożylna postać vedolizumabum. W 2020 r. z terapii vedolizumabum w formie dożylniej skorzystało 215 osób, a 1. połowie 2021 r. vedolizumabum i.v. było leczonych 298 pacjentów.*

*Vedolizumabum do podania podskórnego został dopuszczony do obrotu w 2020 r.*



### Dowody naukowe

W ramach przeglądu systematycznego nie odnaleziono żadnego badania pozwalającego na przeprowadzenie porównania bezpośredniego vedolizumabum s.c. w porównaniu do vedolizumabum i.v.. Ze względu na brak badań bezpośrednio porównujących vedolizumabum s.c. vs vedolizumabum i.v. zidentyfikowano 2 badania umożliwiające wykonanie porównania pośredniego przez wspólną referencję.

W badaniu randomizowanym VISIBLE II oceniono skuteczność stosowania vedolizumabum s.c. w porównaniu z grupą kontrolną placebo PLC dla najdłuższego okresu obserwacji 52 tygodni. Ocenę skuteczności przeprowadzono w populacji FAS (ang. full analysis set) obejmującej wszystkich chorych włączonych do badania VISIBLE II, czyli chorych, którzy odpowiedzieli na leczenie vedolizumabum i.v. podawanym w fazie indukcji i otrzymali vedolizumabum s.c., w ramach terapii podtrzymującej.

W 52 tygodniu okresu obserwacji remisję kliniczną odnotowano u 48% chorych w grupie vedolizumabum s.c. oraz u 34,3% chorych w grupie PLC, a różnica pomiędzy grupami była istotna statystycznie.

Zwiększoną odpowiedź kliniczną, odnotowano u 52,0% chorych z grupy vedolizumabum s.c. oraz u 44,8% chorych z grupy PLC, a pomiędzy grupami nie odnotowano istotnych statystycznie różnic.

Częstość występowania remisji klinicznej bez konieczności stosowania kortykosteroidów odnotowano u 45,3% chorych w grupie WED SC, natomiast w grupie PLC u 18,2% chorych.

Trwała remisja kliniczna, definiowana jako uzyskanie wyniku według skali CDAI  $\leq 150$  punktów w 6 i 52 tyg. leczenia, w grupie stosującej WED S.C. występowała u 28% chorych, a w grupie stosującej placebo u 22,4% chorych. Różnica między grupami nie była istotna statystycznie.

Zmiana wyniku kwestionariusza IBDQ w przypadku wszystkich analizowanych domen była większa w grupie chorych otrzymujących WED S.C. niż PLC. Dodatnia zmiana w stosunku do wartości początkowych mierzona za pomocą kwestionariusza IBDQ została osiągnięta dla wszystkich analizowanych domen wg IBDQ (w domenie objawów systemowych, jelitowych, funkcjonowania emocjonalnego oraz funkcjonowania społecznego) zarówno w grupie stosującej WED SC, jak i PLC. Zmiana odnotowana w obydwu ramionach WED S.C. i PLC pomiędzy 0 tygodniem i 52 tygodniem była istotna klinicznie (zmiana jest istotna klinicznie jeśli wynosi  $\geq 16$  pkt).

Zdarzenia niepożądane ogółem wystąpiły w grupie badanej otrzymujących vedolizumabum s.c. u 73,5% chorych i w grupie kontrolnej otrzymujących placebo u 76,1% chorych, a różnica między grupami nie była istotna statystycznie.

*Porównanie pośrednie WED SC względem komparatora WED IV podczas leczenia podtrzymującego wykonano na podstawie wyników z badania VISIBLE II (WED S.C. vs PLC) i badania GEMINI II (WED IV vs PLC). W badaniach VISIBLE II i GEMINI II okres obserwacji trwał 52 tygodnie.*

*W badaniu pośrednim, w zakresie częstości remisji klinicznej, uzyskania zwiększonej odpowiedzi klinicznej, występowania remisji klinicznej bez konieczności stosowania kortykosteroidów w populacji ogólnej dla okresu obserwacji wynoszącego 52 tyg. wykazano brak istotnej statystycznie różnicy między WED S.C. i WED IV, zarówno dla populacji ogólnej, jak i dla populacji chorych wcześniej nieleczonych inhibitorami TNF-alfa oraz po niepowodzeniu leczenia inhibitorami TNF-alfa.*

*W odniesieniu do częstości występowania zdarzeń niepożądanych ogółem, zdarzeń niepożądanych związanych z leczeniem ogółem oraz zdarzeń niepożądanych prowadzących do przerwania leczenia, nie odnotowano istotnych statystycznie różnic między WED S.C. a WED IV.*

*W ramach przeprowadzonego wyszukiwania odnaleziono wytyczne kliniczne 8 instytucji: PTG-E 2017 (Polska), AGA 2021 (USA), NICE 2021 (Wielka Brytania), NHS 2021 (Wielka Brytania), ECCO 2020 (Europa), FNS2021 (Francja), BSG 2019 (Wielka Brytania), CAG 2019 (Kanada). Wszystkie odnalezione wytyczne wymieniają stosowanie vedolizumabum w leczeniu choroby Leśniowskiego-Crohna (polskie: PTG-E 2017, zagraniczne: AGA 2021, FNC 2021, NICE 2021, NHS 2021, ECCO 2020, BSG 2019, CAG 2019). Do leczenia umiarkowanej i ciężkiej postaci choroby odnoszą się wytyczne AGA 2021, NICE 2021, NHS 2021, ECCO 2020, CAG 2019. Większość odnalezionych wytycznych rekomenduje stosowanie vedolizumabum po niepowodzenia terapii antyTNF -niewystarczająca odpowiedź i reakcja na leczenie lub utrata odpowiedzi na leczenie (wytyczne ECCO 2020, BSG 2019, CAG 2019) lub przeciwwskazaniu do stosowania inhibitorów TNF (wytyczne FNC 2021, NICE 2021, NHS 2021) lub nietolerancji na lek anty TNF (wytyczne NICE 2021, NHS 2021). Wytyczne CAG 2019 rekomendują vedolizumabum w przypadku niepowodzenia terapii kortykosteroidami, tiopurynami, metotreksatu, wytyczne ECCO 2020 w sytuacji nieadekwatnej odpowiedzi na terapię standardową, wytyczne PTG-E 2017 w przypadku steroidooporności, steroidozależności lub nietolerancji glikosteroidów. Do stosowania formy podskórnej wendolizumabu odnoszą się wyłącznie wytyczne NHS 2021.*

*Odnaleziono 4 rekomendacje pozytywne (CADTH 2021, HAS 2020, PBAC 2020 i SMC 2020) i 1 rekomendację negatywną (2. linia leczenia: HAS 2020).*

#### Problem ekonomiczny

*W perspektywie płatnika publicznego*

Główne argumenty decyzji

1. Wyniki pośredniego porównania wendolizumabu s.c. vs. wendolizumab i.v. wskazują na brak różnic istotnych statystycznie w zakresie skuteczności i bezpieczeństwa.
2. Wyniki analizy ekonomicznej

**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.4231.51.2021 „Wniosek o objęcie refundacją objęcie refundacją leku Entyvio (wedolizumab) w ramach programu lekowego: »Leczenie choroby Leśniowskiego-Crohna (ICD-10 K50)«, data ukończenia: 09.12.2021 r.



## KARTA NIEJAWNOŚCI

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

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem (Takeda Pharma 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:** (Takeda Pharma Sp. z o.o.).



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 141/2021 z dnia 20 grudnia 2021 roku  
w sprawie oceny leku Entyvio (vedolizumabum) w ramach programu  
lekowego „Leczenie wrzodziejącego zapalenia jelita grubego  
(WZJG) (ICD-10 K51)”

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Entyvio (vedolizumabum), roztwór do wstrzykiwań, 108 mg, 2, wstrzyk., kod EAN: 07038319122857, w ramach programu lekowego „Leczenie wrzodziejącego zapalenia jelita grubego (WZJG) (ICD-10 K51)”, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie.*

*Rada Przejrzystości nie zgłasza uwag do propozycji instrumentu dzielenia ryzyka. Rada uważa, że należy ujedynolnić nazwę zaproponowanego programu lekowego, tj. „Leczenie wrzodziejącego zapalenia jelita grubego (WZJG) (ICD-10 K51)”, z obecnie funkcjonującym programem lekowym, tj. „Leczenie pacjentów z wrzodziejącym zapaleniem jelita grubego (WZJG) (ICD-10 K51)”.*

### **Uzasadnienie**

#### Problem decyzyjny

*Wrzodziejące zapalenie jelita grubego (WZJG) jest rozlanym nieswoistym procesem zapalnym błony śluzowej odbytnicy i/lub okrężnicy, prowadzącym w części przypadków do powstania owrzodzeń. Szacuje się, że liczba chorych w Polsce wynosi około 35-40 tys. i obserwuje się narastanie częstości zachorowań.*

*Niniejszy wniosek dotyczy uwzględnienia podskórnej drogi podania leku Entyvio w leczeniu podtrzymującym, w ramach istniejącego programu lekowego B.55. Obecnie dla pacjentów we wnioskowanych wskazaniach dostępna jest refundowana terapia preparatem Entyvio w postaci dożylniej, a także terapia infliksymabem (koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji dożylnych) lub tofacytynibem (tabletki powlekane).*

#### Dowody naukowe

*W związku z brakiem badań klinicznych pozwalających bezpośrednio porównać skuteczność i bezpieczeństwo podskórnie i dożylnie podawanego vedolizumabum, wnioskowanie jest możliwe jedynie na podstawie porównań*



pośrednich. Porównanie pośrednie przeprowadzono na podstawie badań *VISIBLE I* i *GEMINI I*. Dodatkowe wyniki analiz pochodzą z badania *VISIBLE OLE* będącego przedłużeniem badania *VISIBLE I*.

Wyniki porównania pośredniego, przez placebo, vedolizumabum podawanym podskórnym z vedolizumabum podawanym dożylnie wskazują na istotną statystycznie przewagę leczenia podskórnego w zakresie jakości życia dla wyniku w kwestionariuszu IBDQ (MD=22,80, 95% CI: (6,61; 38,99)), a także dla wyniku w domenie objawów jelitowych (MD=6,30, 95% CI: (0,97; 11,63)), funkcjonowania emocjonalnego (MD=8,50, 95% CI: (2,44; 14,56)) oraz funkcjonowania społecznego (MD=4,90, 95% CI: (1,85; 7,95) względem wartości początkowych. Istotną statystycznie różnicę zaobserwowano również w zakresie zmiany wyniku kwestionariusza EQ-5D-VAS, względem wartości początkowej, na korzyść pacjentów leczonych vedolizumabum podskórnym (MD=8,30, 95% CI: (0,16; 16,44)). Trudno ocenić na ile przedstawione wyniki statystyczne są istotne klinicznie, bowiem według niektórych doniesień, u pacjentów z przewlekłą zapalną chorobą jelit, minimalną różnicę kliniczną stanowi całkowita zmiana liczby punktów o  $\geq 30$  punktów lub o  $\geq 15$  punktów, w porównaniu z placebo, dla kwestionariusza IBDQ oraz 10,9 punktów dla kwestionariusza EQ-5D-VAS [CADTH 2020].

W porównaniu pośrednim nie odnotowano IS różnic pomiędzy terapiami w zakresie punktów końcowych: remisja kliniczna, trwała remisja kliniczna, remisja kliniczna bez konieczności stosowania kortykosteroidów, trwała odpowiedź kliniczna i wygojenie błony śluzowej. Brak IS różnic w tym zakresie potwierdza również analiza porównawcza opublikowana przez Australijską Agencję PBAC

[PBAC 2020]. Należy mieć jednak na uwadze, że badanie *VISIBLE I* nie miało mocy statystycznej wystarczającej do wykrycia różnic pomiędzy grupą stosującą vedolizumabum podawane podskórnym a grupą stosującą vedolizumabum podawane dożylnie.

Odnalaziono 4 przeglądy systematyczne spełniające kryterium populacji i interwencji: Bhandari 2021, Jairath 2021, CADTH 2020 oraz D'Amico 2020, których wyniki są zbieżne z wynikami badania *VISIBLE I*.

Wytyczne kliniczne u chorych z umiarkowanym i ciężkim nasileniem choroby, u których leczenie standardowe okazało się nieskuteczne lub niemożliwe do zastosowania, zalecają zastosowanie leków z grupy anty-TNF oraz vedolizumabum, ale nie odnoszą się do drogi podania leku.

W zakresie bezpieczeństwa wyniki porównania pośredniego wskazują na brak IS różnic pomiędzy vedolizumabum s.c. i vedolizumabum i.v. w zakresie częstości występowania ciężkich zdarzeń niepożądanych oraz zdarzeń niepożądanych ogółem (w tym związanych z leczeniem). Nie odnotowano również IS różnic

*pomiędzy grupami w zakresie zakażeń ogółem, zapalenia nosogardzieli, zakażenia górnych dróg oddechowych, zapalenia zatok, zakażenia dróg moczowych, nowotworów złośliwych oraz zwiększenia aktywności WZJG. Nie odnotowano żadnego przypadku zgonu w trakcie trwania badań VISIBLE I, VISIBLE OLE i GEMINI I.*

### Problem ekonomiczny

*Analiza ekonomiczna pozwala wnioskować o*

*Wyniki wariantu podstawowego analizy wpływu na budżet wskazują, że stosowanie vedolizumabum do podań podskórnych, w wariancie z RSS, w ramach wnioskowanego programu lekowego, może wiązać się ze*

*Odnaleziono 4 rekomendacje refundacyjne, w tym 3 pozytywne (HAS 2020, PBAC 2020, SMC 2020) i jedna pozytywna warunkowa (CADTH 2020).*

*Ograniczenia analizy ekonomicznej wynikają z modelowania*

### Główne argumenty decyzji

*Pozytywna opinia o refundacji vedolizumabum u do podań podskórnych, w wariancie z RSS, w ramach programu lekowego, wynika z następujących przesłanek: wygodna droga podania, pozytywny wpływ na jakość życia, skuteczność i bezpieczeństwo porównywalne z refundowaną obecnie postacią dożylną, a także obiecujące wyniki analizy ekonomicznej.*

### **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.4231.50.2021 „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu leku Entyvio (wedolizumab)

w ramach programu lekowego: »Leczenie wrzodziejącego zapalenia jelita grubego (WZJG) (ICD-10 K51)«, data ukończenia: 9 grudnia 2021 r.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

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

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem (Takeda Pharma 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:** (Takeda Pharma Sp. z o.o.).



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 142/2021 z dnia 20 grudnia 2021 roku  
w sprawie oceny leku Adcetris (brentuximabum vedotinum)  
w ramach programu lekowego „Leczenie chorych na chłoniaki  
CD30+ (ICD-10 C81; C84.5)”

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Adcetris (brentuximabum vedotinum) proszek do sporządzania koncentratu roztworu do infuzji, 50 mg, 1 fiol. proszku, kod EAN: 05909991004545, w ramach programu lekowego „Leczenie chorych na chłoniaki CD30+ (ICD-10 C81; C84.5)”, w ramach istniejącej grupy limitowej 1142.0 Brentuksymab vedotin i wydawanie go bezpłatnie.*

Rada Przejrzystości zgłasza następujące uwagi

[redacted]

[redacted]

[redacted]

Rada uważa za zasadne

[redacted]

### Uzasadnienie

#### Problem decyzyjny

*Układowy chłoniak anaplastyczny z dużych komórek (sALCL) jest rzadkim i agresywnym chłoniakiem nieziarnicznym powstającym z obwodowych limfocytów T. Zaliczany jest do grupy CD-30 dodatnich chorób limfoproliferacyjnych zajmujących węzły chłonne i lokalizacje pozawęzłowe. Klasyfikacja Światowej Organizacji Zdrowia, w ramach kodu ICD-10 84.5, wyróżnia 3 podtypy chłoniaka anaplastycznego z dużych komórek (ang. anaplastic large cell lymphoma, ALCL): dwie postaci układowe: ALK-dodatni (ALCL ALK+) i ALK-ujemny (ALCL-ALK-) oraz postać skórny (ang. Primary cutaneous anaplastic large cell lymphoma, C-ALCL). ALCL stanowi około 3% chłoniaków nieziarnicznych u osób dorosłych i 10% do 20% chłoniaków u dzieci.*



W Polsce występuje kilkanaście nowych przypadków zachorowań na 100 tys. mieszkańców rocznie.

### Dowody naukowe

Wnioskowana populacja to wcześniej nieleczeni chorzy z układowym chłoniakiem anaplastycznym z dużych komórek, ze sprawnością w stopni 0-2 wg klasyfikacji ECOG.

Wyniki analizy klinicznej pochodzą z publikacji Horwitz 2019 oraz raportu EMA 2020 dotyczących badania ECHELON-2, wieloośrodkowego, randomizowanego, zaślepionego badania fazy III, porównującego skuteczność i bezpieczeństwo brentuksymabu vedotin (BV) stosowanego w skojarzeniu ze schematem cyklofosfamid + doksorubicyna + prednizon (BV+CHP) względem schematu chemioterapii CHOP (CHP+ winkrystyna) u chorych z chłoniakiem z obwodowych komórek T (populacja ITT). W analizie uwzględniono dodatkowe dane przedstawione w abstrakcie konferencyjnym Iyer 2021 z dłuższego okresu obserwacji względem publikacji pełnotekstowej.

W grupie chorych stosujących BV+CHP (ECHELON-2) wykazano istotną statystycznie redukcję (o 29%) ryzyka wystąpienia progresji choroby lub zgonu (pierwszorzędowy punkt końcowy) w porównaniu z grupą CHOP. Zarówno w grupie kontrolnej, jak i badanej, nie osiągnięto mediany OS. Leczenie BV+CHP skutkowało redukcją ryzyka zgonu o 34% względem leczenia CHOP w przypadku populacji ITT. W ocenie jakości życia, w określonych cyklach, wykazano różnice istotne statystycznie na niekorzyść grupy BV+CHP dla procesu funkcjonowania społecznego oraz występowania objawów takich jak: biegunka, nudności, wymioty oraz ból. W analizie bezpieczeństwa oceniano częstość występowania: zdarzeń niepożądanych prowadzących do zgonu, ciężkich AEs związanych



*z interwencją badaną, AEs związanych z interwencją badaną, ciężkich AEs, ciężkich AEs zaistniałych w trakcie leczenia (TEAE), AEs o  $\geq 3$ . Stopniu nasilenia, AEs zaistniałych w trakcie leczenia o dowolnym stopniu nasilenia oraz zdarzeń niepożądanych zaistniałych w trakcie leczenia o  $\geq 3$ . Stopniu nasilenia. Dla wszystkich wymienionych kategorii zdarzeń nie zaobserwowano istotnej statystycznie różnicy między grupami. Uzyskane wyniki wskazują na zbliżony profil bezpieczeństwa w grupie kontrolnej i badanej.*

[Redacted]

[Redacted]

Problem ekonomiczny

[Redacted]

*Objęcie refundacją leku Adcetris w scenariuszu podstawowym, będzie wiązało się z perspektywy płatnika publicznego*

[Redacted]

[Redacted]

Główne argumenty decyzji

*Główny argumentem pozytywnej opinii Rady, w zakresie refundacji leku brentuksymab vedotin, jest jego udowodniona skuteczność kliniczna. Finansowanie leku nie powinno jednak [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.4231.48.2021 „Wniosek o objęcie refundacją leku Adcetris (brentuksymab vedotin) w ramach programu lekowego: »Leczenie chorych na chłoniaki CD30+ (ICD-10 C81; C84.5)«, data ukończenia: 9 grudnia 2021 r.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

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

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem (nazwa wnioskodawcy) 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:** (nazwa wnioskodawcy).



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 143/2021 z dnia 20 grudnia 2021 roku  
w sprawie oceny leku Vyndaqel (tafamidisum) w ramach programu  
lekowego „Leczenie tafamidisem kardiomiopatii w przebiegu  
amyloidozy transtyretynowej u dorosłych (ICD-10 E85)”

*Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Vyndaqel (tafamidisum), 61 mg, 30 kaps. miękkich, GTIN 05415062359426, w ramach programu lekowego „Leczenie tafamidisem kardiomiopatii w przebiegu amyloidozy transtyretynowej u dorosłych (ICD-10 E85)”.*

### Uzasadnienie

#### Problem decyzyjny

*Kardiomiopatia w przebiegu amyloidozy transtyretynowej (ATTR-CM) jest rzadko występującą, i jeszcze rzadziej rozpoznawaną chorobą spichrzeniową, spowodowaną gromadzeniem się w przestrzeni zewnątrzkomórkowej miokardium włókien amyloidu - transtyretyny. Skutkuje to stopniowym pogarszaniem funkcji rozkurczowej, a w bardziej zaawansowanych stadiach – także funkcji skurczowej lewej komory. Jest ona oporna na typowe leczenie niewydolności serca, co szybko prowadzi do śmierci pacjenta. Średni wiek rozpoznania to 74 lata; przeżycie od rozpoznania wynosi ok 4 lata.*

#### Dowody naukowe

*Vyndaqel był do tej pory stosowany głównie do leczenia neuropatii w przebiegu amyloidozy.*

*Jego skuteczność w leczeniu ATTR-CM wykazano w wielośrodkowym badaniu z randomizacją - ATTR-ACT. Zastosowanie megluminianu tafamidisu w dawce 80 mg wiązało się z obniżeniem ryzyka złożonego punktu końcowego (śmiertelności z uwzględnieniem przyczyn oraz hospitalizacji z przyczyn sercowo naczyniowych) o 30%; był to efekt istotny pod względem statystycznym.*

#### Problem ekonomiczny

*Szacowana wielkość populacji nowo rozpoznanej wynosi [redacted] (wg. szacunków producenta prognozowana populacja pacjentów leczonych będzie wynosić [redacted]). Jest ona obciążona znacznym błędem, gdyż uwzględnia, częściej rozpoznawaną, amyloidozę łancuchów lekkich*



(ALL). [REDACTED]

Przez najbliższe lata ATTR CM będzie rozpoznawana jedynie w ośrodkach wysokospecjalistycznych.

[REDACTED]. Oszacowany ICUR [REDACTED].

Rekomendacje refundacyjne w innych krajach są rozbieżne (pozytywne: kanadyjska, nowozelandzka; negatywne: brytyjska, w tym NICE, irlandzka i niderlandzka).

#### Główne argumenty decyzji

- [REDACTED];
- Negatywne rekomendacje NICE.

#### **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.4231.49.2021 „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu produktu leczniczego Vyndaqel (tafamidis) w ramach programu lekowego leczenia kardiomiopatii w przebiegu amyloidozy transtyretynowej u dorosłych (ICD-10 E85)”, data ukończenia: 7.12.2021 r.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

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

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem (Pfizer Polska sp. z o.o.) o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

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

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

**Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności:** (Pfizer Polska sp. z o.o.).



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 181/2021 z dnia 20 grudnia 2021 roku

w sprawie uzupełnienia opinii Rady Przejrzystości nr 82/2021 z dnia 28 czerwca 2021 roku w sprawie zasadności wprowadzenia zmian w programie lekowym: B.10 „Leczenie raka nerki (ICD-10 C.64)”

*W uzupełnieniu opinii Rady Przejrzystości nr 82/2021 z dnia 28 czerwca 2021 roku w sprawie zasadności wprowadzenia zmian w programie lekowym: B.10 „Leczenie raka nerki (ICD-10 C.64)” Rada Przejrzystości uważa za zasadne następujące zmiany w ww. programie:*

- *rozszerzenie populacji poprzez usunięcie zawężającego kryterium kwalifikacji o rozpoznaniu jasnokomórkowego raka nerki (ccRCC) dla części terapii;*
- *usunięcie kryterium wykonania nefrektomii.*

*W pierwszej linii leczenia Rada uznaje za:*

- *zasadne dokonanie zmian w programie w odniesieniu do:*
  - *tiwozanibu – wprowadzenie możliwości zastosowania terapii u chorych o rokowaniu korzystnym wg skali IMDC i 80-100 w skali Karnofskiego;*
  - *pembrolizumabu z aksytynibem – wprowadzenie możliwości zastosowania terapii u chorych o rokowaniu pośrednim i niekorzystnym w skali IMDC i 80-100 w skali Karnofskiego, pod warunkiem znaczącej redukcji kosztów terapii;*
  - *niwolumabu z ipilimumabem – możliwość zastosowania terapii u chorych o rokowaniu pośrednim i niekorzystnym w skali IMDC i 70-100 w skali Karnofskiego, pod warunkiem znaczącej redukcji kosztów terapii;*



- *kabozantynibu – wprowadzenie terapii tym lekiem w populacji o rokowaniu pośrednim i niekorzystnym oraz w stanie ogólnym 70-100 wg skali Karnofskiego.*

*W drugiej linii leczenia Rada uznaje za:*

- *zasadne dokonanie zmian w programie w odniesieniu do:*
  - *aksytynibu – zmiana kryteriów kwalifikacji, dopuszczającej wcześniejsze leczenie inhibitorami wielokinazowymi (TKI) lub anty PD-1 (pembrolizumab, niwolumab)/ PDL-1, CTLA-4 (ipilimumab) lub cytokinami oraz usunięcie kryterium rokowniczego;*
  - *ewerolimusu – zmiana kryteriów kwalifikacji, dopuszczającej wcześniejsze leczenie inhibitorami wielokinazowymi lub anty PD-1 (pembrolizumab, niwolumab)/ PDL-1, lub cytokinami oraz usunięcie kryterium rokowniczego;*
  - *kabozantynibu – zmiana kryteriów kwalifikacji, dopuszczającej wcześniejsze leczenie inhibitorami wielokinazowymi lub anty PD-1 (pembrolizumab, niwolumab)/ PDL-1, CTLA4 (ipilimumab) lub cytokinami oraz usunięcie kryterium rokowniczego, przy zmianie skali Karnofsky na 70-100;*
  - *niwolumabu – zmiana kryteriów kwalifikacji, dopuszczającej wcześniejsze leczenie systemowe z zastosowaniem wielokinazowych inhibitorów (sunitynib, pazopanib, tiwozanib, kabozantynib) oraz utrzymanie braku kryterium rokowniczego, przy zmianie skali Karnofsky na 70-100.*

*W trzeciej linii leczenia Rada uznaje za:*

- *zasadne dokonanie zmian w programie w odniesieniu do:*
  - *kabozantynibu – dodanie możliwości leczenia po wcześniejszej terapii VEGF (pazopanib, sunitynib, sorafenib lub tiwozanib) w I linii oraz niwolumabem w II linii, dla rokowania korzystnego, przy skali Karnofskiego 80-100;*
  - *ewerolimusu – dodanie możliwości leczenia po wcześniejszej terapii kabozantynibem lub niwolumabem + ipilimumabem w I linii leczenia oraz niwolumabem, aksytynibem lub kabozantynibem w II linii, dla rokowania pośredniego, przy skali Karnofskiego 80-100;*



- *za niezasadne dokonywanie zmian w programie w odniesieniu do aksytynibu – dodanie możliwości leczenia po wcześniejszej terapii VEGF (pazopanib, sunitynib, sorafenib lub tiwozanib) w I linii oraz niwolumabem w II linii, dla rokowania korzystnego oraz skali Karnofsky 80-100.*

*Rada Przejrzystości wskazuje, iż dostępne wyniki prób klinicznych, w szczególności brak badań bezpośrednio porównujących (head to head studies) skuteczność i bezpieczeństwo poszczególnych leków, stosowanych w terapii raka nerki, nie pozwala na wiarygodne oszacowanie, które z dostępnych leków są najbardziej efektywne w leczeniu pacjentów, w zależności od rokowania. W sytuacji braku wiarygodnych informacji empirycznych, Rada sugeruje pozostawienie lekarzom swobody wyboru, przy jednoczesnej koncentracji leczenia w placówkach mających duże wolumen leczonych pacjentów.*

*Zdaniem Rady, w III linii leczenia, zapisy programu powinny odnosić się wyłącznie do przebytej ścieżki terapeutycznej, a nie do rokowania (klasyfikacji rokowniczej) ustalonego przy rozpoznaniu choroby.*

*W zakresie kwestii ekonomicznych Rada zwraca uwagę:*

- *na stopniowe wygasanie wyłączności rynkowej i ochrony patentowej dla aktualnie finansowanych inhibitorów kinazy tyrozynowej (pazopanib, sunitynib), w tym na fakt rejestracji odpowiedników generycznych dla sunitynibu (Sunitynib Accord). Tym samym, w bliskiej perspektywie można oczekiwać stopniowej redukcji efektywnego kosztu terapii tą grupą leków. W związku z powyższym objęcie refundacją produktu Fotivda powinno być uwarunkowane uzyskaniem warunków finansowych zapewniających znaczącą redukcję efektywnych kosztów terapii w stosunku do aktualnie finansowanego najtańszego produktu leczniczego z grupy TKI. Dodatkowo, w perspektywie po objęciu finansowaniem odpowiedników sunitynibu, zasadnym wydaje się powiązanie efektywnego miesięcznego kosztu leczenia produktem leczniczym Fotivda z efektywnym miesięcznym kosztem leczenia najtańszym TKI;*
- *na koszt leczenia substancją kabozantynib, w kontekście poprzednio wydanego stanowiska zawierającego warunek [REDACTED]. Równocześnie w opinii Rady właściwym punktem odniesienia dla miesięcznych kosztów*

terapii zarówno aksyтынibem jaki i kabozantynibem jest miesięczny efektywny koszt terapii innymi lekami z grupy TKI;

- *na niezwykle wysoki, w odniesieniu do wykazanych efektów zdrowotnych, miesięczny koszt leczenia schematami leczniczymi obejmującymi pembrolizumab + aksyтынib oraz nivolumab + ipilimumab. W opinii Rady efektywny roczny koszt leczenia każdym z tych schematów nie powinien [REDACTED];*
- *na wprowadzenie do I linii leczenia; zgodnie z zapisami ocenianego programu lekowego, którejkolwiek z rozważanych opcji terapeutycznych tj: pembrolizumab + aksyтынib, nivolumab + ipilimumab, kabozantynib spowoduje istotne rozszerzenie instrumentarium opcji terapeutycznych. Tym samym, decyzja o objęciu finansowaniem jednej lub kilku z powyższych opcji powinna być uwarunkowana uzyskaniem konkurencyjnych warunków refundacji, zapewniających zarówno efektywny koszt terapii zgodny z przedstawionymi powyżej założeniami, ale również długofalowe zabezpieczenie całościowych wydatków płatnika publicznego.*

#### **Uzasadnienie**

*Wytyczne PTOK 2021 wskazują, że w części badań wymagane było usunięcie guza pierwotnego, a w innych wystarczało jedynie potwierdzenie rozpoznania histologicznego. Ponadto, w momencie podejmowania decyzji odnośnie do optymalnej strategii postępowania z chorymi na zaawansowanego raka nerki, należy wziąć pod uwagę szereg czynników związanych zarówno ze stanem ogólnym pacjenta, jak i z cechami choroby. W przypadku wysokiej dynamiki, masywnego zaawansowania, przy objawach kryzy narządowej, leczenie systemowe musi zostać wdrożone możliwie najszybciej, nawet u chorych bez wcześniejszej nefrektomii.*

*W analizowanych wytycznych PTOK 2021, ESMO 2019, NCCN 2021, schemat leczenia chorych na zaawansowanego raka niejasnokomórkowego uwzględnia leczenie systemowe. PTOK 2021 zwraca uwagę na ograniczenia związane z oceną typu histologicznego. W związku z tym typ histologiczny nie powinien być decydującym czynnikiem kwalifikacyjnym.*

*W badaniu VEG105192 pazopanib porównywano z placebo. Dla pacjentów wcześniej nieleczonych mediana PFS wyniosła 11,1 miesiąca w ramieniu pazopanibu i 2,8 miesiąca w ramieniu placebo. W przypadku pacjentów leczonych wcześniej cytokinami wartości median PFS wyniosły odpowiednio 7,4 miesiąca i 4,2 miesiąca.*

W badaniu Motzer 2007, u pacjentów z rakiem nerkowo-komórkowym z przerzutami, którzy dotychczas nie byli leczeni, stosowanie sunitynibu wiązało się z podobnym przeżyciem całkowitym, w porównaniu do leczenia IFN- $\alpha$ . Mediana OS wynosiła 114,6 tygodnia (26,4 miesiąca) w grupie stosujących sunitynib (95% CI: 100,1; 142,9) i 94,9 tygodnia (21,8 miesiąca) w grupie pacjentów stosujących IFN- $\alpha$  (95% CI: 77,7; 117,0). HR wyniósł 0,821 (95% CI: 0,673; 1,001) i był nieznamienisty statystycznie.

W 2020 r. Rada Przejrzystości zaopiniowała pozytywnie objęcie refundacją produktu leczniczego Fotivda w ramach programu lekowego: „Leczenie raka nerki (ICD-10 C64)”, z zastrzeżeniem, że nie akceptuje propozycji instrumentu dzielenia ryzyka i wskazuje na konieczność obniżenia ceny leku co najmniej do poziomu najtańszego komparatora. Rada nie zgłosiła uwag do projektu PL (SRP 25/2020).

W 2020 r. Rada Przejrzystości zaopiniowała pozytywnie leczenie pembrolizumabem w ramach PL „Leczenie raka nerki (ICD-10 C 64)” (SRP 69/2020), uważając jednocześnie zaproponowany instrument dzielenia ryzyka za niewystarczający i wnioskuje o jego poprawienie, w celu nieprzekraczania progu opłacalności kosztowej, w porównaniu z pazopanibem. Rada wskazała również, że do programu powinno się kwalifikować tylko chorych z pośrednim i niekorzystnym rokowaniem oraz stanem funkcjonalnym w skali WHO 0-1. Rada uznała za konieczne monitorowanie pacjentów w trakcie realizacji programu lekowego. Dodanie aksytynibu do pembrolizumabu istotnie zwiększa koszt terapii.

W 2019 r. Rada Przejrzystości zaopiniowała pozytywnie PL „Leczenie raka nerki (ICD-10: C64)” (SRP 107/2019), ale wskazała na konieczność obniżenia kosztów terapii.

Wg zaleceń klinicznych NCCN 2021, ESMO 2020 i PTOK 2021, kabozantynib jest zalecany w pierwszej linii leczenia.

W 2013 r. Rada pozytywnie zaopiniowała finansowanie, w ramach rozszerzenia programu „Leczenie raka nerki (ICD-10 C 64)”, produktu leczniczego Inlyta (aksytynib), w II linii leczenia, po nieskutecznym leczeniu cytokinami lub wielokinazowymi inhibitorami tyrozyny, pod warunkiem uzyskania ceny gwarantującej osiągnięcie progu koszt - użyteczności, względem innych inhibitorów VEGF. Rada nie akceptowała przedstawionego instrumentu podziału ryzyka, uznając go za niewystarczający do spełnienia warunku uzyskania finansowania. (SRP 90/2013, 91/2013).

W 2017 r. Rada Przejrzystości uznała za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Cabometyx (kabozantynib), w ramach programu lekowego „Leczenie raka nerki (ICD-10 C64)”, pod warunkiem wdrożenia instrumentu dzielenia ryzyka, zapewniającego efektywność kosztową stosowania leku w Polsce. Rada

nie zaakceptowała zaproponowanego instrumentu dzielenia ryzyka. Jednocześnie, kryteria włączenia powinny być zawężone do chorych po nefrektomii lub z udokumentowanym brakiem możliwości wykonania nefrektomii. (SRP 55/2017; 56/207; 57/2017)

Wyniki analizy skuteczności i jakości życia u leczonych niwolumabem vs ewerolimusem, z badania CheckMate 025 (populacja ITT) [Motzer 2015, Motzer 2015 suppl] wskazują, iż niwolumab wydłuża przeżycie całkowite (HR = 0,73 [98.5% CI: 0,57; 0,93]). Odsetek zgonów w ciągu okresu obserwacji był niższy w grupie otrzymującej niwolumab, w porównaniu z ramieniem ewerolimusu (RR = 0,85 [95% CI, 0,74; 0,98]).

W 2020 r. prezes Agencji rekomendował objęcie refundacją produktu Cabometyx (kabozantynib) w III linii, po niepowodzeniu wcześniejszego leczenia, z zastosowaniem terapii celowanej na czynnik wzrostu śródbłonna naczyniowego w I linii oraz niwolumabu w II linii, w ramach programu lekowego B.10 „Leczenie raka nerki (ICD-10 C64).”

Ocena ewerolimusu w 3 linii zakończyła się wydaniem pozytywnej opinii Rady Przejrzystości ( 84/2021 z 28 czerwca 2021 r.). Rada uznała za zasadną refundację leków zawierających substancję ewerolimus w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania, odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego tj: w III linii leczenia raka nerkowo-komórkowego, w ramach Programu Lekowego B.10 „Leczenie raka nerki (ICD-10 C64).

Ocena aksytynibu w monoterapii w III linii zakończyła się wydaniem negatywnej Opinii Rady Przejrzystości (Opinia RP nr 83/2021 z dnia 28 czerwca 2021 r.): Nie odnaleziono badań dla aksytynibu, stosowanego w monoterapii w III linii, spełniających predefiniowane kryteria włączenia. Głównym ograniczeniem wykluczonych badań był brak reprezentatywnej grupy pacjentów z określonym rokowaniem i/lub brak informacji na temat leczenia zastosowanego w I i II liniach leczenia i/lub jego niezgodność z zapisami programu lekowego.

#### **Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt 4 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 1285 z późn zm.), z uwzględnieniem opracowania nr: OT.4221.44.2021 „Opracowanie dotyczące oceny zasadności wprowadzenia zmian w zapisach programu lekowego B.10 »Leczenie raka nerki (ICD-10 C64)«, data ukończenia: 25 czerwca 2021 r. oraz aneksu do niniejszego opracowania „Aneks do opracowania dotyczącego oceny zasadności wprowadzenia zmian w zapisach programu lekowego B.10 »Leczenie raka nerki (ICD-10 C64)«”.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców (MSD Polska Sp. z o.o.).

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem (MSD 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:** (MSD Polska Sp. z o.o.).



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 182/2021 z dnia 20 grudnia 2021 roku

o projekcie programu „Program wspierania leczenia niepłodności mieszkańców miasta Leszna na rok 2022”

*Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program wspierania leczenia niepłodności mieszkańców miasta Leszna na rok 2022”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.*

#### Uzasadnienie

*Przedstawiony do oceny program dotyczy istotnego problemu zdrowotnego jakim jest niepłodność. Deklarowany przez wnioskodawcę cel programu to „ograniczenie bezdzietności wśród mieszkańców miasta Leszna w trakcie trwania programu, poprzez zapewnienie parom dostępu do diagnostyki i leczenia niepłodności w wyniku których prognozuje się uzyskanie wyniku pozytywnego ciąży u ok. 40% par”. Do programu zostaną zakwalifikowane pary (wiek uczestników: 20-43 lata) zamieszkujące miasto Leszno. W projekcie założono udział 24 par „dotkniętych niepłodnością”. Może to budzić pewne wątpliwości, gdyż sugeruje, że takie pary miały już przeprowadzoną diagnostykę w kierunku niepłodności. Agencja opiniowała już podobny projekt programu, który otrzymała od Miasta Leszno w 2016 roku. Prezes Agencji wydał opinię negatywną nr 6/2017 z dnia 18 stycznia 2017 r. Podstawową różnicę w obecnie ocenianym programie stanowi rozszerzenie proponowanych działań diagnostycznych, działania edukacyjne oraz określenie kosztów jednostkowych. Pomimo wprowadzonych poprawek, w obecnie ocenianym projekcie programu nie odniesiono się, w zadowalającym stopniu, do niektórych spośród uwag zawartych w opinii Prezesa AOTMiT. W szczególności, nie przedstawiono celów programowych zgodnie z regułą SMART, a deklarowany cel główny nie jest możliwy do zrealizowania w programie ze względu na zaplanowanie jedynie działań diagnostycznych/edukacyjnych a nie terapeutycznych. Część zaproponowanych badań diagnostycznych nie znajduje odzwierciedlenia w analizowanych rekomendacjach towarzystw naukowych, np. test fragmentacji DNA plemników nie jest rekomendowany w rutynowym, podstawowym postępowaniu diagnostycznym. Rada zwraca przy tej okazji uwagę na to, że zdaniem specjalistów Polskiego Towarzystwa Medycyny Rozrodu i Embriologii, wykonywanie niepotrzebnych badań i, tym samym, niepotrzebne*



*przedłużanie diagnostyki może definitywnie pozbawić wiele par szansy na dziecko. W projekcie wskazano na koszty jednostkowe, lecz nie wskazano na jakiej podstawie oszacowano ich wielkość. Ponadto, w projekcie nie odniesiono się do kosztów związanych z monitorowaniem oraz ewaluacją. Inne uwagi dotyczące programu zawiera raport 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.431.108.2021.TT „Program wspierania leczenia niepłodności mieszkańców miasta Leszna na rok 2022”, data ukończenia: grudzień 2021 oraz Aneksów do raportów szczegółowych „Programy z zakresu leczenia niepłodności technikami wspomaganego rozrodu (ART) – wspólne podstawy oceny”, styczeń 2018 r., „Programy leczenia niepłodności metodą Naprotechnologii – wspólne podstawy oceny”, październik 2014 r.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 183/2021 z dnia 20 grudnia 2021 roku

o projekcie programu „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania nadwagi i otyłości wśród uczniów uczęszczających do szkół podstawowych na terenie Miasta Zielonka”

*Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania nadwagi i otyłości wśród uczniów uczęszczających do szkół podstawowych na terenie Miasta Zielonka”, pod warunkiem uwag uwzględnionych w raporcie analitycznym oraz Rady.*

#### Uzasadnienie

*Oceniany program dotyczy profilaktyki i wczesnego wykrywania nadwagi i otyłości wśród uczniów szkół podstawowych funkcjonujących na terenie miasta Zielonka. Program dotyczy ważnego z powodu odległych konsekwencji zdrowotnych problemów zdrowotnych otyłości. Do programu będą rekrutowane dzieci uczęszczające do klas 0-VIII szkół podstawowych – ok. 1576 dzieci (80% populacji docelowej) – w zakresie działań edukacyjnych i kwalifikacji do interwencji multikomponentowej) wraz z rodzicami/opiekunami (ok. 1114 osób) oraz wychowawcami (ok. 140-150 os.).*

*W programie zaplanowano działania edukacyjne dla uczniów oraz rodziców (opiekunów prawnych) i wychowawców, interwencję multikomponentową (zakładając minimum 26 godzin kontaktowych), badanie lekarskie początkowe, w połowie trwania PPZ oraz badanie lekarskie końcowe. Dodatkowo 5 konsultacji dietetycznych, konsultację psychologiczną oraz zajęcia ruchowe.*

*Zaplanowane interwencje, jak również czas ich trwania jest zgodny z zaleceniami dotyczącymi rodzaju i czasu trwania interwencji (USPTF). Uwzględniono rekomendacje wskazujące, że w przypadku programów tego typu powinno się uwzględniać multidyscyplinarny zespół specjalistów, który powinien obejmować dietetyków, psychiatrów, pielęgniarki (ES 2017), a także pediatrów, psychologów oraz specjalistów w dziedzinie zdrowia i promowania aktywności fizycznej (ISPED, ISP 2018), jak również rodziców lub opiekunów (ES 2017, MoH NZ 2016, NICE 2015a, NICE 2015b). Czas trwania programu zaplanowano na lata 2021-2025.*

*W budżecie zaplanowano koszty jednostkowe i koszty całkowite. Koszt całkowity programu wyniesie około 1,5 mln PLN (ok. 300 tys. PLN rocznie).*





## Uwagi

1. Program powinien obejmować wszystkie dzieci uczęszczające do szkół podstawowych na terenie miasta. Wymóg dostarczania dodatkowych dokumentów stanowi zbędne skomplikowanie procedury i ewentualne wykluczenie części dzieci.
2. Kryterium BMI jako jedyne kryterium związanego z masą ciała służącego do kwalifikacji do programu wydaje się niewystarczające, wskazane jest dodatkowe uwzględnienie także innych parametrów np. fazy wzrostu oraz przebieg wzrastania i dojrzewania płciowego oraz różnice w typie budowy ciała.
3. W związku z faktem, że skuteczność interwencji multikomponentowych jest zależna między innymi od liczby spotkań ich liczba musi być zdefiniowana. Określenie, że ich liczba „zależy od dostępności miejsc i możliwości organizacyjnych realizatora” jest nieakceptowalne.
4. Realizacja warsztatów w formie zdalnej budzi wątpliwości, ze względu na brak danych co do skuteczności tej formy interwencji. Do rozważenia jest natomiast kwestia dostępu do materiałów z warsztatów i wykładów w formie on-line.
5. Czas działań edukacyjnych dla dzieci wynoszący 4 godziny lekcyjne w roku szkolnym wydaje się zbyt krótki.
6. Należy zwrócić uwagę, że niektóre z proponowanych diet np. DASH jest dietą ukierunkowaną na populację z nadciśnieniem tętniczym, a nie dietą dedykowaną do redukcji masy ciała.

## 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.431.109.2021 „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania nadwagi i otyłości wśród uczniów uczęszczających do szkół podstawowych na terenie Miasta Zielonka”, data ukończenia: grudzień 2021 oraz raportu nr OT.423.2.2018 „Profilaktyka nadwagi oraz otyłości wśród dzieci i młodzieży w ramach programów polityki zdrowotnej” z kwietnia 2019 r.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 184/2021 z dnia 20 grudnia 2021 roku

o projekcie programu „Program profilaktyki zdrowia niemowląt w gminie Kaliska na lata 2022-2028”

*Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki zdrowia niemowląt w gminie Kaliska na lata 2022-2028”.*

#### Uzasadnienie

*Głównym założeniem projektu programu jest „zwiększenie czułości wczesnego rozpoznania dysplazji stawów biodrowych, problemów w obszarze mózgowia oraz jamy brzusznej w populacji dzieci zamieszkałych na terenie Gminy Kaliska poprzez wdrożenie przesiewowych badań populacyjnych u dzieci w wieku do 12 miesięcy życia, ze szczególnym uwzględnieniem problemów klinicznie bezobjawowych, niemożliwych do wykrycia w ramach podstawowej opieki zdrowotnej”.*

*Cele szczegółowe: 1. zmniejszenie częstości występowania wczesnych zmian zwyrodnieniowych stawów biodrowych u pacjentów z przetrwałą, nierozpoznaną i nieleczoną dysplazją stawu biodrowego, problemów w obszarze mózgowia i w obszarze jamy brzusznej; 2. zmniejszenie chorobowości związanej z powyższymi problemami w populacji Gminy Kaliska.*

*Planowane interwencje: badanie USG stawów biodrowych, badanie USG jamy brzusznej, badanie USG przeciemięczkowe. W ramach PPZ nie zaplanowano działań edukacyjnych dla rodziców/opiekunów prawnych dzieci.*

*W przypadku badania USG stawów biodrowych odnalezione rekomendacje nie są jednoznaczne.*

*W przeglądzie systematycznym Shorter 2011, w jednym z badań stwierdzono, że ultrasonografia uniwersalna w porównaniu z samym badaniem klinicznym nie spowodowała istotnego zmniejszenia późno zdiagnozowanego DDH lub zabiegu chirurgicznego. W jednym badaniu stwierdzono, że celowana ultrasonografia w porównaniu z samym badaniem klinicznym nie spowodowała istotnego zmniejszenia późno zdiagnozowanego DDH. Metaanaliza dwóch badań wykazała, że ultrasonografia uniwersalna, w porównaniu z ultrasonografią celowaną, nie przyniosła istotnego zmniejszenia późno zdiagnozowanej DDH. AAP 2016 odradza uniwersalne badania*



ultrasonograficzne. Selektywne USG stawu biodrowego można rozważyć w wieku od 6 tygodni do 6 miesięcy u niemowląt „wysokiego ryzyka”.

Ponieważ większość DDH występuje u dzieci bez czynników ryzyka, badanie fizykalne pozostaje podstawowym narzędziem przesiewowym (AAP 2016).

AAOS 2015 również podkreśla, że umiarkowane dowody przemawiają za nieprzeprowadzaniem powszechnych badań ultrasonograficznych noworodków. Natomiast rekomendacja Agostiniani 2020 wskazuje, że wszystkie noworodki, niezależnie od obecności czynników ryzyka, muszą być objęte programem badań przesiewowych w kierunku DDH, który przewiduje wykonanie badania USG bioder między 4 a 6 tygodniem życia.

Badanie USG jamy brzusznej. W odnalezionych rekomendacjach zaznacza się, że ultrasonografia powinna być wstępnym badaniem obrazowym z wyboru u większości dzieci ze schorzeniami jamy brzusznej i powinna być wykonana przed zaawansowanym obrazowaniem (eviCore CDS 2021).

Badanie USG przeziemięczkowe. Odnalezione rekomendacje zalecają USG głowy w populacji wcześniaków (CPS 2020, BWH 2016). Rutynowe badanie USG głowy jest zalecane u wszystkich niemowląt urodzonych przed 31 tygodniem ciąży (CPS 2020). W przypadku wcześniaków urodzonych między 32 a 36 tygodniem ciąży rutynowe USG głowy jest zalecane tylko w przypadku obecności czynników ryzyka krwotoku śródczaszkowego lub niedokrwienia (CPS 2020). Rozpoznanie wymagającego leczenia problemu w obszarze stawów biodrowych, jamy brzusznej lub mózgowia ma skutkować informacją dla lekarza POZ o konieczności skierowania pacjenta do poradni specjalistycznej, celem leczenia w ramach NFZ.

Opinie eksperckie: Konsultanta Krajowego w dziedzinie Pediatrii, Konsultanta Wojewódzkiego w dziedzinie Ortopedii i traumatologii narządu ruchu (woj. małopolskie), Konsultanta Krajowego w dziedzinie Ortopedii i traumatologii narządu ruchu, Konsultanta Wojewódzkiego w dziedzinie Neonatologii (woj. małopolskie), Konsultanta Krajowego w dziedzinie Neonatologii, zasiępane dla potrzeb poprzedniej wersji Aneksu, w większości były pozytywne. Podsumowując:

Programy profilaktyki następstw dysplazji stawów biodrowych powinny być prowadzone i finansowane przez samorządy, z uwagi na udowodnioną skuteczność w wykrywaniu tzw. bezobjawowej dysplazji stawu biodrowego, możliwość wcześniejszego rozpoznania patologii skutkującej ciężkimi powikłaniami – rozwój zmian zwyrodnieniowych. Badanie powinno być obowiązkowe, wpisane do obowiązkowych świadczeń dla wszystkich noworodków urodzonych w Polsce. Badanie wykonywane metodą Grafa jest jedyną możliwością wykrycia wrodzonej dysplazji stawów biodrowych. Badanie to nie może być zastąpione przez badanie kliniczne stawów biodrowych,

wykonywanych w oddziałach noworodkowych. Badania ultrasonograficzne są skuteczne w opisanym wskazaniu i są zgodne z aktualną praktyką lub wytycznymi postępowania. Bliskie oraz odległe skutki zaniechania zaproponowanego działania mogą doprowadzić do zwiększenia ilości skomplikowanych operacji stawów biodrowych.

Natomiast zdaniem KW w dziedzinie Neonatologii (woj. małopolskie) z uwagi na relatywnie małą częstotliwość wykrywania patologii w trakcie badania przesiewowego, należy zawęzić populację badanych niemowląt np. do dziewczynek lub dzieci z tzw. „ułożenia pośladkowego”, bądź też przypadków występowania tej patologii w wywiadzie.

Wnioskodawca nie odniósł się do budżetu programu. Nie wskazał też źródła finansowania. Na str. 9 projektu zapisano jedynie, że środki finansowe planowane na realizację badań, pozwolą na wykonanie ponad 100 badań USG rocznie, co będzie skutkowało objęciem badaniami 100% populacji niemowląt urodzonych na terenie Gminy Kaliska.

Negatywna opinia wynika głównie z powodu braku budżetu.

#### **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.431.110.2021 „Program profilaktyki zdrowia niemowląt w gminie Kaliska na lata 2022-2028”, data ukończenia: grudzień 2021 oraz Aneksu do raportów szczegółowych „Programy profilaktyki następstw dysplazji stawu biodrowego – wspólne podstawy oceny” z lipca 2021 r.