



BP.401.19.2022.LAn

Protokół nr 17/2022
z posiedzenia Rady Przejrzystości
w dniu 2 maja 2022 roku
w formie wideokonferencji

Michał Myśliwiec otworzył posiedzenie o godzinie 10:03.

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

1. Barbara Jaworska-Łuczak
2. Adam Maciejczyk
3. Tomasz Młynarski
4. Michał Myśliwiec
5. Rafał Niżankowski
6. Tomasz Pasierski
7. Jakub Pawlikowski
8. Piotr Szymański
9. Monika Urbaniak

Członkowie Rady nieobecni na posiedzeniu:

1. Maciej Karaszewski

Proponowany porządek obrad:

1. Ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie opinii w sprawie oceny zasadności wprowadzenia nowego podziału na grupy limitowe w obszarze refundowanych opatrunków specjalistycznych wydawanych na receptę, stosowanych w ranach przewlekłych i pęcherzowym oddzielaniu się naskórka.
3. Przygotowanie opinii o projektach programów polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego:
 - 1) „Leczenie niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego dla mieszkańców Gminy Piaseczno na lata 2022-2024”,
 - 2) „Zabezpieczenie płodności na przyszłość u mieszkańców Wrocławia chorych onkologicznie na lata 2022-2024”,
4. Przygotowanie opinii w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną kwas walproinowy we wskazaniu: pacjenci w wieku 18 lat i powyżej z prawidłowo rozpoznaną migreną przewlekłą wg. obowiązujących kryteriów ICHD (International Classification of Headache Disorders), w oparciu o dzienniczek bólu głowy pacjenta z ostatnich 4 miesięcy.
5. Przygotowanie opinii w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną peginterferonum alfa-2a we wskazaniach: C84.0 ziarniniak grzybiasty, C84.1 choroba Sezary'ego;



D45 czerwienica prawdziwa, D47.1 przewlekła choroba układu wytwórczego szpiku, D75.2 nadpłytkowość samoistna.

6. Przygotowanie opinii w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną sirolimusum we wskazaniu: zespół Klippel-Trenaunay.
7. Przygotowanie opinii w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną tacrolimusum we wskazaniu: miastenia.
8. Przygotowanie opinii w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną carbamazepinum we wskazaniu: napady padaczkowe w bezobjawowych przerzutach do kory ruchowej mózgu - profilaktyka.
9. Zakończenie posiedzenia.

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

Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) przyjęła proponowany porządek obrad.

Ad 2. Analityk Agencji przedstawił prezentację dot. nowego podziału na grupy limitowe w obszarze refundowanych opatrunków specjalistycznych, a propozycję opinii przedstawił Rafał Niżankowski.

Wobec braku głosów w dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 1 do protokołu).

Ad 3. 1) Analityk Agencji zaprezentował założenia programu polityki zdrowotnej gm. Piaseczno w zakresie leczenia niepłodności, a propozycję opinii Rady przedstawił Tomasz Młynarski.

Głos zabrał Rafał Niżankowski, a Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 7 głosami „za”, przy 2 głosach „przeciw” (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 2 do protokołu).

2) Analityk Agencji przedstawił informacje o programie polityki zdrowotnej m. Wrocław dot. zabezpieczenia płodności u chorych onkologicznie, a propozycję opinii Rady przedstawił Jakub Pawlikowski.

Głos w dyskusji Rady zabrali: Rafał Niżankowski, Adam Maciejczyk i Jakub Pawlikowski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 3 do protokołu).

Ad 4. Analityk Agencji omówił dane odnoszące się do leków zawierających substancję czynną kwas walproinowy we wskazaniu dot. migreny przewlekłej. Propozycję opinii Rady przedstawiła Barbara Jaworska-Łuczak, a Michał Myśliwiec doprecyzował zapisy uchwały.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 4 do protokołu).

Ad 5. Tomasz Pasierski przedstawił projekt opinii dot. substancji czynnej peginterferonum alfa-2a we wskazaniach: C84.0 ziarniniak grzybiasty, C84.1 choroba Sezary'ego; D45 czerwienica prawdziwa, D47.1 przewlekła choroba układu wytwórczego szpiku, D75.2 nadpłytkowość samoistna.

W dyskusji Rady głos zabrali Michał Myśliwiec i Tomasz Pasierski, po czym Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 5 do protokołu).

Ad 6. Adam Maciejczyk przedstawił projekt opinii dot. substancji czynnej sirolimusum we wskazaniu: zespół Klippel-Trenaunay.

Wobec braku głosów w dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 6 do protokołu).

Ad 7. Piotr Szymański przedstawił projekt opinii dot. substancji czynnej tacrolimusum we wskazaniu: miastenia.

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

Ad 8. Monika Urbaniak przedstawiła projekt opinii dot. substancji czynnej carbamazepinum we wskazaniu: napady padaczkowe w bezobjawowych przerzutach do kory ruchowej mózgu – profilaktyka.

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

Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) podjęła uchwałę o zwołaniu 2 posiedzeń Rady w pełnym składzie – w dniach 9 i 16 maja.

Ad 9. Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 11:13.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 59/2022 z dnia 2 maja 2022 roku
w sprawie oceny zasadności wprowadzenia nowego podziału na
grupy limitowe w obszarze refundowanych opatrunków
specjalistycznych wydawanych na receptę

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne wprowadzenia zmian w kategoryzacji opatrunków specjalistycznych w oparciu o analizę nowych grup limitowych.

Jednocześnie Rada uważa za zasadną poprawę skuteczności leczenia ran przewlekłych i przygotowanie przez Agencję kompleksowej propozycji finansowania terapii tych patologii z uwzględnieniem różnic wynikających z odmienności klinicznych różnych form owrzodzeń przewlekłych, obejmującą również wskazania dla opatrunków specjalistycznych.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Zlecenia Ministerstwa Zdrowia z 21 lutego b.r. zawiera propozycję, nowego, szczegółowego podziału opatrunków specjalistycznych na grupy limitowe. Liczba grup wg tej propozycji ma wzrosnąć z obecnych 15 aż do 42. Podstawą podziału są różnice techniczne opatrunków a nie wskazania kliniczne. Propozycja dotyczy stosowania opatrunków specjalistycznych w pęcherzowym oddzieleniu naskórka oraz w owrzodzeniach przewlekłych. Wszystkie typy i podtypy pierwszej z tych patologii są bardzo rzadkie. Z kolei owrzodzenia przewlekłe są szeroką i często występującą patologią. Do najbardziej rozpowszechnionych należą owrzodzenia w stopie cukrzycowej, przewlekłe owrzodzenia żyłne oraz odleżyny.

Każda z tych postaci owrzodzenia przewlekłego wymaga innego sposobu postępowania a opatrunki są jedynie fragmentem, najczęściej nie najważniejszym w procesie leczenia.

Dowody naukowe

Wykonane przez analityków Agencji wyszukiwanie przeglądów systematycznych pozwoliło na odnalezienie 16 przeglądów (14 w bazie Cochrane Library, 1 w Medline i 1 w Google Scholar). Nie odnaleziono przeglądu odnoszącego się do leczenia ran spowodowanych przez pęcherzowe oddzielenie się naskórka.



Dane dotyczące punktów końcowych takich jak czas do zagojenia rany, całkowity odsetek wyleczonych ran, zapobieganie zakażeniom, jakość życia nie pozwalają na postawienie konkluzji o wyższej skuteczności danego typu opatrunku względem innych. Badania pierwotne, uwzględnione w przeglądach często cechowały się małą liczbą uczestników, dużą niepewnością wyników, niekompletnością danych lub niewystarczającym czasem prowadzenia obserwacji.

Problem ekonomiczny

Zgromadzone wyniki badań nie wskazują na zasadność zwiększania wydatków publicznych poprzez wydzielenie 42 osobnych grup limitowych dla opatrunków specjalistycznych, różniących się jedynie parametrami technicznymi, ale nie skutecznością kliniczną.

Główne argumenty decyzji

- *Koncentracja na drogich opatrunkach specjalistycznych może skutkować niewłaściwym postępowaniem w owrzodzeniach przewlekłych, które bardzo często można skutecznie leczyć dużo tańszymi metodami.*
- *Wobec braku dostatecznie wiarygodnych danych z randomizowanych badań klinicznych brak jest podstaw do zwiększania wydatków publicznych.*
- *Podstawą leczenia ran przewlekłych jest uwzględnianie patomechanizmu ich powstawania. Opatrunki specjalistyczne być może mogą być przydatne w wybranych sytuacjach, które należałoby zidentyfikować.*
- *Stopa cukrzycowa wymaga przede wszystkim usuwania zainfekowanych tkanek martwiczych. Gdy jest to postać niedokrwienna niezbędną jest skuteczna, endowaskularna rewaskularyzacja, a w przypadku postaci neuropatycznej opatrunki odciążające stopę.*
- *Owrzodzenie żyłne wymaga przede wszystkim opatrunków uciskowych, natomiast w ranach odleżynowych konieczne dla wygojenia są głównie właściwy poziom albumin w surowicy i odciążenie, a nie technicznie wyszukane opatrunki.*

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: WS.4220.6.2022 „Opracowanie analityczne dotyczące zasadności wprowadzenia zmian w kategoryzacji opatrunków specjalistycznych–analiza nowych grup limitowych”, data ukończenia: 28.04.2022 r.3



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 60/2022 z dnia 2 maja 2022 roku

o projekcie programu „Leczenie niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego dla mieszkańców Gminy Piaseczno na lata 2022-2024”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Leczenie niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego dla mieszkańców Gminy Piaseczno na lata 2022-2024”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady oraz uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

Niepłodność powoduje poważne konsekwencje psychologiczne i ekonomiczne, zarówno na poziomie indywidualnym, jak i społecznym. WHO apeluje, by problem ten zaliczać do kategorii chorób społecznych. Leczenie niepłodności w drodze zapłodnienia pozaustrojowego, jak i procedura zabezpieczenia płodności na przyszłość, nie są finansowane w ramach świadczeń gwarantowanych. Zgodnie z rekomendacjami PTMR/PTG 2018, procedura zapłodnienia pozaustrojowego (IVF, ICSI) ma udowodnioną, najwyższą skuteczność spośród wszystkich metod wspomaganego rozrodu.

Głównym celem ocenianego programu jest: „ograniczenie zjawiska niezamierzonej bezdzietności wśród mieszkańców miasta Gminy Piaseczno w trakcie trwania programu, poprzez zapewnienie leczenia niepłodności metodami wspomaganey reprodukcji w oparciu o przepisy prawa oraz określone standardy postępowania i procedury medyczne, w wyniku których w trakcie trwania programu prognozuje się narodziny około 15 dzieci”.

Populację docelową będą stanowić pary zamieszkujące na terenie miasta Piaseczno, które nie mogą zrealizować planów rozrodczych poprzez spontaniczną koncepcję, o ile wiek kobiety mieści się w przedziale 20-42 lata. W programie zaplanowano udział około 60 par (20 par rocznie). O kwalifikacji do programu decydować będzie kolejność zgłoszeń, w miarę dostępności miejsc, przy jednoczesnym spełnieniu kryteriów włączenia i braku kryteriów wykluczających.

Program obejmuje dofinansowanie do procedury zapłodnienia pozaustrojowego, z wykorzystaniem własnych gamet pary (dawstwo partnerskie) lub z wykorzystaniem nasienia dawcy (dawstwo inne niż partnerskie) albo



z wykorzystaniem żeńskich komórek rozrodczych od anonimowej dawczyni (dawstwo inne niż partnerskie), bądź procedury adopcji zarodka (dawstwo inne niż partnerskie). Wnioskodawca zaplanował także indywidualne, bezpłatne konsultacje par z psychologiem.

Uczestnicy programu mają mieć prawo do skorzystania z jednorazowego dofinansowania w wysokości 5 000 zł do zabiegu zapłodnienia pozaustrojowego, w ramach dawstwa partnerskiego lub innego niż partnerskie albo do dofinansowania w wysokości do 3000 zł do procedury adopcji zarodka. Pary muszą natomiast wyrazić zgodę na samodzielne pokrycie kosztów przechowywania kriokonserwowanych zarodków oraz ich ewentualnych kriotransferów, a także na ewentualne pokrycie kosztów kriokonserwacji oocytów.

Nietransferowane, kriokonserwowane zarodki powstałe w efekcie procedur zapłodnienia pozaustrojowego, w ramach programu, będą po jego zakończeniu przechowywane w warunkach zapewniających ich należyłą ochronę, do czasu ich przeniesienia do organizmu biorczyni, zgodnie z przepisami ustawy o leczeniu niepłodności. Stosownie do rekomendacji, program zakłada transfer pojedynczego zarodka, a jedynie w klinicznie uzasadnionych przypadkach dopuszczony jest transfer lub kriotransfer dwóch zarodków.

Realizator programu wybrany zostanie w drodze konkursu ofert. Projekt programu zakłada przeprowadzenie akcji informacyjnej, a także monitorowanie i ewaluację. Całkowity koszt programu wyniesie 300 000 zł. Program zostanie sfinansowany ze środków budżetu miasta Piaseczno.

W ocenie Rady Przejrzystości:

- Należy minimalizować przyrost liczby kriokonserwowanych zarodków zdolnych do rozwoju, które nie są transferowane; ich liczba powinna być monitorowana i uwzględniona w ewaluacji programu.
- Należy określić zasady postępowania z kriokonserwowanymi zarodkami po upływie ustawowego 20-letniego okresu przechowywania; kwestie te powinny być omówione z beneficjentami przed uzyskaniem zgody na wykonanie procedur przewidzianych w programie.
- Przeniesienie na beneficjentów kosztów przechowywania kriokonserwowanych zarodków i/lub oocytów powstałych w efekcie przeprowadzonej w ramach programu procedury IVF budzi wątpliwości, ponieważ w perspektywie wieloletniej naraża pacjentów na koszty i może ograniczać dostęp mniej zamożnym parom.
- W przypadku zapłodnienia z użyciem gamet dawców, należy uwzględnić kwestie związane z prawem do poznania pochodzenia biologicznego osób poczętych w ramach tej procedury i omówić z dawcami i beneficjentami ryzyka związane z niemożnością zachowania anonimowości dawstwa.

- *Przyjęte mierniki efektywności, wskaźniki monitorowania oraz kryteria ewaluacji wymagają skorygowania.*
- *Należy opracować wzór ankiety satysfakcji i dołączyć go do projektu programu.*

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.431.21.2022 „Leczenie niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego dla mieszkańców Gminy Piaseczno na lata 2022-2024”, data ukończenia: maj 2022 oraz Aneksu do raportów szczegółowych „Programy z zakresu diagnostyki i leczenia niepłodności –wspólne podstawy oceny” z lutego 2022 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 61/2022 z dnia 2 maja 2022 roku

o projekcie programu „Zabezpieczenie płodności na przyszłość u mieszkańców Wrocławia chorych onkologicznie na lata 2022-2024”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Zabezpieczenie płodności na przyszłość u mieszkańców Wrocławia chorych onkologicznie na lata 2022-2024”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady oraz zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest projekt PPZ w zakresie zabezpieczenia płodności na przyszłość, zakładający przeprowadzenie procedury kriokonserwacji gamet (komórek jajowych lub nasienia) i wsparcie psychologiczne u chorych na nowotwory w wieku prokreacyjnym, którzy poddani będą terapii gonadotoksycznej. Populację docelową będą stanowiły osoby w wieku 18-40 lat. Wnioskodawca oszacował, że liczba zachorowań na nowotwory, w populacji osób zamieszkujących miasto Wrocław w wieku 18-40 lat w 2018 r., wyniosła 90 wśród mężczyzn i 175 wśród kobiet. Rocznie programem ma zostać objętych 30% osób z populacji docelowej (30 mężczyzn i 50 kobiet), a w całym okresie trwania programu zaplanowano objęcie działaniami 240 osób. Procedura zachowania płodności nie jest refundowana ze środków publicznych.

Program jest odpowiedzią na ważną potrzebę zdrowotną, związaną z zachowaniem płodności, u chorych poddawanych terapii onkologicznej o wysokim ryzyku gonadotoksycznym. Odpowiednia opieka psychologiczna poprawia jakość życia osób z chorobą nowotworową i redukuje doświadczenie szkodliwego stresu. Program jest zgodny z ustawą z dnia 25 czerwca 2015 r. o leczeniu niepłodności, rekomendacjami klinicznymi (np. PTMRIE_PTGP 2018, PTGO 2017, NICE 2013) oraz opiniami ekspertów. Wnioskodawca przedstawił dane epidemiologiczne, kryteria włączenia i wykluczenia oraz koszty jednostkowe i całkowite.

Uwagi Rady:

- 1. Należy zadbać o to, aby fiskalno-administracyjne kryteria wykluczenia, przewidziane w programie (tj. nieskładanie zeznań podatkowych lub deklaracji podatkowej we właściwym dla miasta Wrocławia urzędzie*



skarbowym), nie spowodowały niesprawiedliwego wykluczenia osób aktualnie niepracujących, np. z powodu podjęcia studiów, albo ze względów zdrowotnych. Wydaje się, że bardziej zasadnym byłoby negatywne sformułowanie wspomnianego kryterium, tj. wykluczenie osób rozliczających się w urzędach podatkowych poza Wrocławiem.

2. Założeniem programu jest wykorzystanie zabezpieczonych gamet do procedur wspomaganej prokreacji, dlatego należy w ich dalszym wykorzystaniu uwzględnić uwagi Rady dotyczące programów leczenia niepłodności metodą *in vitro*.
3. Należy uwzględnić uwagi zawarte w raporcie AOTMiT, szczególnie dotyczące przeformułowania celów, mierników efektywności oraz monitorowania i ewaluacji programu.

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.431.22.2022 „Zabezpieczenie płodności na przyszłość u mieszkańców Wrocławia chorych onkologicznie na lata 2022-2024”, data ukończenia: kwiecień 2022 oraz Aneksu do raportów szczegółowych „Programy z zakresu diagnostyki i leczenia niepłodności – wspólne podstawy oceny” z lutego 2022 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 62/2022 z dnia 2 maja 2022 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną kwas walproinowy w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego

Rada Przejrzystości uważa za zasadne refundację leków zawierających substancję czynną kwas walproinowy (oraz jego pochodne) we wskazaniu pozarejestacyjnym: pacjenci w wieku 18 lat i powyżej z prawidłowo rozpoznaną migreną przewlekłą wg. obowiązujących kryteriów ICHD (International Classification of Headache Disorders), w oparciu o dzienniczek bólu głowy pacjenta z ostatnich 4 miesięcy.

Uzasadnienie

Migrena jest chorobą przewlekłą, cechującą się napadami bólu głowy, którym mogą towarzyszyć inne objawy neurologiczne oraz zaburzenia wegetatywne, szczególnie dotyczące przewodu pokarmowego. Zgodnie z klasyfikacją ICHD-3 beta migrena przewlekła to ból głowy występujący w co najmniej 15 dniach w miesiącu przez ponad trzy miesiące, z których co najmniej 8 to dni, w których ból głowy spełnia kryteria rozpoznania migreny lub ustępuje pod wpływem tryptanów albo ergotaminy oraz powstał z typu bólu głowy, który uprzednio spełniał kryteria migreny epizodycznej bez aury lub z aurą.

Migrena przewlekła występuje częściej u kobiet niż u mężczyzn (3:1). Wyniki ostatnich badań wskazują, że w Polsce na migrenę choruje blisko 10% populacji, co w przeliczeniu na liczby bezwzględne odpowiada około 3,8 miliona osób.

Poważne powikłania migreny występują rzadko. Udary migrenowe występują częściej u młodych kobiet z migreną niż u kobiet bez migreny, jednakże są to przypadki rzadkie i wskazuje się na możliwość ich prewencji ograniczając nikotynizm i stosowanie doustnych środków antykoncepcyjnych. U większości chorych po 50 r.ż. dochodzi do pełnej remisji migreny.

Zgodnie z Obwieszczeniem MZ z dnia 20 kwietnia 2022 r. refundacją objęte są leki zawierające kwas walproinowy, walproinian sodu, a także skojarzenie kwasu walproinowego z walproinianem sodu. Wszystkie dostępne postacie leków



(kapsułki miękkie, tabletki o przedłużonym uwalnianiu, granulat o przedłużonym uwalnianiu, syrop) podawane doustnie w leczeniu padaczki (napady uogólnione, częściowe) oraz w leczeniu epizodów maniakalnych w chorobie afektywnej dwubiegunowej, w przypadku gdy lit jest przeciwwskazany lub źle tolerowany (nie dotyczy leków Depakine i Convulex w postaci syropu). Leki te refundowane są również we wskazaniu pozarejestracyjnym tj. neuralgia lub neuropatia w obrębie twarzy.

Dodatkowo produkt Absenor zarejestrowany jest także w leczeniu napadów ogniskowych i napadów wtórnie uogólnionych oraz w leczeniu skojarzonym innych rodzajów napadów padaczkowych, takich jak napady ogniskowe z objawami prostymi i złożonymi, a także ogniskowe z wtórnym uogólnieniem, gdy te rodzaje napadów nie reagują na zwykle stosowane leki przeciwdrgawkowe.

Dopuszczony do obrotu na terenie Polski są również inne produkty tj. lek Depakine w postaci proszku i rozpuszczalnika do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, zawierający walproinian sodu oraz lek Dipromal (tabl. powlekane, 200 mg), zawierający pochodną kwasu walproinowego - walproinian magnezu, jednak nie są one refundowane.

W ramach analizy skuteczności przedstawiono wyniki przeglądu systematycznego Cui 2020, w którym zaprezentowano wyniki metaanalizy badań dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa pochodnych kwasu walproinowego wśród dorosłych pacjentów z migreną.

W ramach metaanalizy 3 badań porównujących walproinian sodu z topiramatem odnotowano mniejszą szansę skutecznego leczenia migreny wnioskowaną technologią w porównaniu do komparatora, jednak różnica nie była istotna statystycznie. Dla porównania z propranololem (1 badanie) również nie odnotowano istotnej statystycznie różnicy, aczkolwiek szansa wystąpienia, co najmniej 50% zmniejszenia częstości bólów głowy była nieznacznie większa wśród pacjentów leczonych diwalproinianem sodu niż wśród pacjentów leczonych komparatorem.

Kwas walproinowy jest bezwzględnie przeciwwskazany w ciąży i nie powinien być stosowany u kobiet w wieku rozrodczym.

Kwas walproinowy wymieniany jest przez wytyczne Polskiego Towarzystwa Bólów Głowy, Polskiego Towarzystwa Neurologicznego i Polskiego Towarzystwa Bólu z 2021 r. (PTBG/PTN/PTB, 2021) jako jedna z rekomendowanych opcji terapii pierwszego rzutu najczęściej stosowanych w migrenie epizodycznej. Kwas walproinowy rekomendowany jest także w profilaktyce migreny przewlekłej z klasą rekomendacji A przez wytyczne PTBG/PTN/PTB 2021, natomiast walproinian i diwalproinian sodu przez wytyczne AHS 2021 (The American Headache Society).

Ze względu na brak danych dotyczących odsetka osób, który będzie stosował kwas walproinowy (i jego pochodne) przyjęto, że wielkość populacji, zgodnie z opinią Konsultant Krajowej w dziedzinie neurologii wynosi 65,4 tys. osób. Założono, że lek stosowany jest przez cały rok. Należy mieć na uwadze, że oszacowanie ma charakter maksymalny.

Roczny koszt stosowania kwasu walproinowego w populacji docelowej (65,4 tys. osób) wynosi od 16,9 mln zł do 50,7 mln zł z perspektywy NFZ w zależności od przyjętego dawkowania (min.: 500, maks.: 1500 mg/d).

Koszt 28-dniowej terapii z perspektywy NFZ wynosi od 18 do 53 zł (w zależności od przyjętego dawkowania) w przypadku kwasu walproinowego, od 2 do 4 zł w przypadku propranololu i 0 zł w przypadku amitryptyliny, topiramatu i toksyny botulinowej typu A (są to leki nierefundowane w leczeniu migreny przewlekłej).

Koszt 28-dniowej terapii z perspektywy wspólnej wynosi od 20 do 59 zł (w zależności od przyjętego dawkowania) w przypadku kwasu walproinowego, od 9 do 17 zł w przypadku propranololu, 20 zł w przypadku amitryptyliny, od 56 do 402 zł w przypadku topiramatu (w zależności od ceny konkretnego produktu – w obliczeniach uwzględniono cenę minimalną i maksymalną spośród widniejących na Obwieszczeniu MZ) i od 133 do 360 zł w przypadku toksyny botulinowej typu A (w zależności od ceny konkretnego produktu – w obliczeniach uwzględniono cenę minimalną i maksymalną spośród widniejących na Obwieszczeniu MZ).

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2022 r., poz. 463), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 1285 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności dalszego finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr: OT.4221.25.2022 „Kwas walproinowy (oraz jego pochodne) we wskazaniu: pacjenci w wieku 18 lat i powyżej z prawidłowo rozpoznaną migreną przewlekłą wg obowiązujących kryteriów ICHD (International Classification of Headache Disorders), w oparciu o dzienniczek bólu głowy pacjenta z ostatnich 4 miesięcy”, data ukończenia: 27 kwietnia 2022 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 63/2022 z dnia 2 maja 2022 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną peginterferonum alfa-2a w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną peginterferonum alfa-2a we wskazaniach pozarejestacyjnych: C84.0 ziarniniak grzybiasty; C84.1 choroba Sezary'ego; D45 czerwienica prawdziwa, D47.1 przewlekła choroba układu wytwórczego szpiku, D75.2 nadpłytkowość samoistna.

Uzasadnienie

Peginterferon jest nieswoiście działającym, stosowanym od dawna lekiem, modyfikującym przebieg szeregu chorób hematologicznych.

Lek ten był przedmiotem wcześniejszych decyzji Rady: pozytywnej z dnia 23 grudnia 2019 roku, w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych substancji czynnej peginterferonum alfa-2a we wskazaniach pozarejestacyjnych: chłoniaki skórne T-komórkowe (ICD-10 C.84, C.84.0, C.84.1) oraz negatywnych z dnia 17 czerwca 2019 roku w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych substancji czynnej peginterferonum alfa-2a we wskazaniu pozarejestacyjnym D45 czerwienica prawdziwa i z dnia 3 czerwca 2019 roku, w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych substancji czynnej peginterferonum alfa-2a wskazaniach pozarejestacyjnych, m. in. C84.0 ziarniniak grzybiasty, C84.1 choroba Sezary'ego, D47.1 przewlekła choroba układu wytwórczego szpiku, D75.2 nadpłytkowość samoistna.

Dowody naukowe

We wszystkich wymienionych wskazaniach są niskiej jakości, nie obejmują randomizowanych i zaślepionych badań z grupą kontrolną. Leki te są generalnie rekomendowane w tych wskazaniach przez PTOK, NCCN i ESMO.

Ziarniniak grzybiasty (C84.0)

Badanie Patsatsi 2021 retrospektywne, kohortowe, obejmujące 31 pacjentów (61% mężczyzn, mediana wieku 62 lata). Uzyskano wskaźnik odpowiedzi na leczenie peginterferonem na poziomie 54,8% [9,7% CR, 45,2% PR].



Jakiegokolwiek działania niepożądane odnotowano u 68% pacjentów (neutropenia [76%]).

Choroba Sezary'ego C84.1

Nie odnaleziono żadnych doniesień spełniających kryteria włączenia. Wykorzystanie interferonu w leczeniu choroby Sezary'ego rekomendowane jest, jako skojarzone wraz z terapią światłem oraz retinoidami.

Czerwienica prawdziwa (D45), nadpłytkowość samoistna (D75.2)

Badanie Yacoub 2019, prospektywne, bez grupy kontrolnej, wykazało, że pegylowany interferon alfa 2a jest skuteczną terapią dla pacjentów z czerwienicą prawdziwą (PV) lub nadpłytkowością samoistną (ET), wykazujących oporność lub nietolerancję na hydroksymocznik.

Przewlekła choroba układu wytwórczego szpiku (D47.1)

Ta grupa chorych była uwzględniona w populacji badania m.in. Gowin 2012, które wykazało, że peginterferon alfa 2a wykazuje zdolność do wywoływania remisji zarówno hematologicznych, jak i molekularnych, i może stanowić leczenie II linii wśród pacjentów, u których wcześniejsza terapia nie powiodła się lub u pacjentów we wczesnym stadium choroby, w celu powstrzymania jej dalszej progresji.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2022 r., poz. 463), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 1285 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności dalszego finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr: OT.4221.26.2022 „peginterferonum alfa - 2a we wskazaniach: C84.0, C84.1, C92.1, D45, D47.1, D75.2”, data ukończenia: 29.04.2022 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 64/2022 z dnia 2 maja 2022 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną sirolimusum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną sirolimusum we wskazaniu pozarejestacyjnym: zespół Klippel- Trénaunay.

Uzasadnienie

Opinia Rady Przejrzystości z roku 2019 dotycząca stosowania sirolimusu była pozytywna.

Zespół Klippela-Trénaunaya wymaga multidyscyplinarnego podejścia, a terapia ukierunkowana jest na leczenie objawowe. Zmiany naczyniowe występujące u pacjentów z KTS mają zróżnicowany charakter i niemożliwe jest wskazanie jednolitej ścieżki terapeutycznej. Nowe dowody naukowe wskazane w aktualizowanym opracowaniu AOTMiT, dotyczące skuteczności i bezpieczeństwa stosowania sirolimusumu, potwierdzają skuteczność we wnioskowanym wskazaniu. Lek wymieniany jest w wytycznych amerykańskiej Grupy roboczej ds. zespołu Klippela-Trénaunaya (KTS Working Group 2016). Uwzględniając powyższe, Rada uznaje za zasadne kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną sirolimusum we wnioskowanym wskazaniu.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2022 r., poz. 463), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 1285 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności dalszego finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr: OT.4221.27.2022 „Sirolimusum we wskazaniu: zespół Klippel-Trénaunay”, data ukończenia: 29.04.2022 r.





Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 65/2022 z dnia 2 maja 2022 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną tacrolimusum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną tacrolimusum we wskazaniu pozarejestacyjnym: miastenia.

Uzasadnienie

W dniu 17 czerwca 2019 roku Rada Przejrzystości wydała pozytywną opinię (nr 182/2019) w przedmiocie kontynuacji refundacji leków zawierających substancję czynną tacrolimusum w ocenianym wskazaniu. Dostępne dowody naukowe, w tym wyniki badań klinicznych opublikowanych po wydaniu poprzedniej opinii, wskazują na skuteczność tacrolimusum u wybranych chorych z miastenią, w tym w szczególności nie tolerujących, niektórych innych leków immunosupresyjnych.

Uwzględniając przedstawione okoliczności Rada uznaje, że refundacja leków zawierających substancję czynną tacrolimusum we wskazaniu pozarejestacyjnym „miastenia” powinna być kontynuowana.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2022 r., poz. 463), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 1285 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności dalszego finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr: OT.4221.29.2022 „takrolimus we wskazaniu: miastenia”, data ukończenia: 28 kwietnia 2022 r.





Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 66/2022 z dnia 2 maja 2022 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną
carbamazepinum w zakresie wskazań do stosowania lub
dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w
Charakterystyce Produktu Leczniczego

Rada Przejrzystości uważa za niezasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną carbamazepinum we wskazaniu pozarejestacyjnym: napady padaczkowe w bezobjawowych przerzutach do kory ruchowej mózgu - profilaktyka.

Uzasadnienie

Karbamazepina jest stosowana w leczeniu napadów padaczkowych występujących w przebiegu pierwotnych i przerzutowych guzów mózgu. Nie rekomenduje się natomiast profilaktycznego stosowania leków przeciwpadaczkowych, w tym karbamazepiny, u pacjentów z guzami mózgu (AHS 2014).

W wyniku przeprowadzonego wyszukiwania odnaleziono tylko nowy przegląd systematyczny Greenhalgh 2020, obejmujący prace oryginalne opublikowane do 2015 r. Nie ma więc nowych danych naukowych dotyczących stosowania karbamazepiny w przedmiotowym wskazaniu, co przemawia za utrzymaniem opinii Rady z 10 grudnia 2018 roku.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2022 r., poz. 463), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 1285 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności dalszego finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr: OT.4221.8.2021 „Karbamazepina, gabapentyna, ketoprofen, lamotrygina we wskazaniach: innych niż określone w ChPL”, data ukończenia: 21.10.2021 r.

