



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezysie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

BP.401.37.2022.MKZ

**Protokół nr 35/2022
z posiedzenia Rady Przejrzystości
w dniu 5 września 2022 roku
w formie wideokonferencji**

Michał Myśliwiec otworzył posiedzenie o godzinie 10:05

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

1. Dorota Kilańska
2. Marcin Kołakowski
3. Adam Maciejczyk
4. Mirosław Markowski
5. Tomasz Młynarski
6. Michał Myśliwiec
7. Rafał Niżankowski
8. Piotr Szymański
9. Janusz Szyndler
10. Monika Urbaniak

Proponowany porządek obrad:

1. Ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego Tript-OH (oxitriptan) we wskazaniu: deficyty tetrahydrobiopteryny.
3. Przygotowanie opinii o projektach programów polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego:
 - „Leczenie niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego in vitro dla mieszkańców Jeleniej Góry w latach 2022-2026”,
 - „Program polityki zdrowotnej w zakresie diagnozowania i leczenia niepłodności dla mieszkańców Powiatu Olkuskiego”,
 - „Program polityki zdrowotnej profilaktyki zakażeń meningokokowych dla dzieci z Gminy Kielce”.
4. Przygotowanie opinii w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną arsenicum trioxidum we wskazaniu: C92.4 ostra białaczka promielocytowa w przypadku pacjentów poniżej 18 roku życia z rozpoznaniem ostrej białaczki promielocytowej charakteryzującej się translokacją t (15;17) i (lub) obecnością genu PML/RAR-alfa.
5. Zakończenie posiedzenia.

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

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

Ad 2. Analityk Agencji podsumował raport dot. produktu leczniczego Tript-OH (import docelowy) we wskazaniu: deficyty tetrahydrobiopteryny, a projekt stanowiska Rady przedstawił Marcin Kołakowski.

W dyskusji i formułowaniu finalnej wersji stanowiska udział brali: Mirosław Markowski, Michał Myśliwiec i Marcin Kołakowski.

W związku z brakiem innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 1 do protokołu).

Ad 3 1) Analityk Agencji omówił program polityki zdrowotnej miasta Jelenia Góra z zakresu leczenia niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego, a propozycję opinii Rady przedstawiła Dorota Kilańska.

W dyskusji i formułowaniu końcowej wersji opinii uczestniczyli Michał Myśliwiec i Dorota Kilańska.

W związku z brakiem innych głosów Prowadzący zarządził głosowanie.

Decyzją Prowadzącego Rada dokonała modyfikacji w treści opinii poprzez dodanie uwagi Rady, po czym Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 2 do protokołu).

2) Analityk Agencji omówił program polityki zdrowotnej powiatu olkuskiego z zakresu diagnozowania i leczenia niepłodności, a propozycję opinii Rady przedstawił Tomasz Młynarski.

W związku z brakiem innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 9 głosami „za”, przy 1 głosie „przeciw” (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 3 do protokołu).

3) Analityk Agencji omówił program polityki zdrowotnej gminy Kielce z zakresu profilaktyki zakażeń meningokokowych, a propozycję opinii Rady przedstawiła Monika Urbaniak.

W dyskusji głos zabrali Michał Myśliwiec i Monika Urbaniak.

W związku z brakiem innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 4 do protokołu).

Ad 4. Adam Maciejczyk przedstawił propozycję opinii Rady w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną arsenicum trioxidum we wskazaniu: C92.4 ostra białaczka promielocytowa w przypadku pacjentów poniżej 18 roku życia z rozpoznaniem ostrej białaczki promielocytowej charakteryzującej się translokacją t(15;17) i (lub) obecnością genu PML/RAR-alfa.

Wobec braku głosów w dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 5 do protokołu).

Ad 5. Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 10:51



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 84/2022 z dnia 5 września 2022 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku Tript-OH
(oksytryptan) we wskazaniu: deficyty tetrahydrobiopteryny

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację leków:

- *Tript-OH (oksytryptan), 20 kapsułek, 100 mg,*
 - *Tript-OH (oksytryptan), 30 kapsułek, 50 mg,*
- we wskazaniu: deficyty tetrahydrobiopteryny.*

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Objęcie refundacją w trybie importu docelowego leku Tript-OH (dwie prezentacje) we wskazaniu deficyty tetrahydrobiopteryny (BH4). Obejmują one grupę rzadkich zaburzeń neurometabolicznych powodowanych przez mutacje patogenne w genach odpowiadających za biosyntezę i regenerację BH4, będącej kluczowym kofaktorem hydroksylaz aminokwasów aromatycznych.

Wszystkie zaburzenia są dziedziczone autosomalnie recesywnie (AR), z wyjątkiem niedoboru GTP-CH (GTP-CHD), który objawia się zarówno autosomalnym recesywnym, jak i autosomalnym dominującym (AD) wzorcem dziedziczenia.

Oxytryptan stosowany jako lek przeciwpadaczkowy i przeciwdepresyjny natomiast uzupełnienie deficytu tetrahydrobiopteryny BH4 jest wskazaniem off-label.

Dowody naukowe

Następujące badania pierwotne: Manzoni 2020 (pacjenci z deficytem PTPS), Almannai 2019 (PTPS), Han 2015 (PTPS), Shintaku 2013 (PTPS, DHPR), Opladen 2012 (PTPS, DHPR, GTPCH, PCD), Ye 2012 (deficyty BH4 ogółem) oraz Niu 2011 (PTPS) były wzięte pod uwagę w trakcie przygotowywania przedmiotowego stanowiska. We wszystkich tych badaniach pacjenci z deficytem BH4 leczeni byli przy użyciu sapropteryny (BH4) w skojarzeniu z prekursorami dopaminy i serotoniny (lewodopa lub karbidopa) oraz 5-hydroktryptofanem (5-HTP). Wyniki nie są jednoznaczne, choć wskazują na poprawę stanu pacjentów. Szczególnie podkreślane jest jak najwcześniejsze rozpoczęcie leczenia. Brak jest badań naukowych, w których stosuje się 5-HTP w monoterapii.

Problem ekonomiczny

Dokładne rozpowszechnienie niedoborów BH4 na świecie pozostaje nieznanne. Szacuje się, że średnia częstość występowania wszystkich hiperfenyloalaninemii (HPA) wykrytych w ramach badań przesiewowych noworodków w Europie wynosi ok. 1:10 000 – przypuszcza się, że niedobory BH4 odpowiadają za ok. 1-2% z nich. Zgodnie z oszacowaniami, liczba pacjentów leczonych Tript-OH może wynieść od 17 do 39 osób rocznie. Szacowany roczny koszt płatnika publicznego może wynieść od ok. 38 tys. zł do ok 534 tys. zł., jednakże kwoty te mogą być wyższe.

Główne argumenty decyzji

W przypadku braku leczenia, u pacjentów występują złożone i ciężkie objawy neurologiczne, parkinsonizm, choroby degeneracyjne mózgu, przedwczesna śmierć.

Brak jest dopuszczonych produktów leczniczych zawierających oksytryptan.

Jak wskazują eksperci i analitycy, we wnioskowanym wskazaniu nie istnieją świadczenia alternatywne dla produktu leczniczego Tript-OH.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust. 2 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 1285 z późn. zm.) oraz w zw. z art. 39 ust. 3 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2022 r., poz. 463), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności wydawania zgody na refundację nr: OT.4211.12.2022 „Tript-OH (oksytryptan) we wskazaniach: deficyty tetrahydrobiopteryny”. Data ukończenia: 01.09.2022 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 133/2022 z dnia 5 września 2022 roku
o projekcie programu „Leczenie niepłodności metodą zapłodnienia
pozaustrojowego in vitro dla mieszkańców Jeleniej Góry w latach
2022-2026”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Leczenie niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego in vitro dla mieszkańców Jeleniej Góry w latach 2022-2026”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT oraz zmiany tytułu na „Leczenie niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego dla mieszkańców Jeleniej Góry w latach 2022-2026”.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest projekt PPZ przesłany przez miasto Jelenia Góra w zakresie leczenia niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego in vitro dla mieszkańców miasta Jelenia Góra w latach 2022-2026. Leczenie niepłodności w drodze zapłodnienia pozaustrojowego nie jest obecnie w Polsce finansowane w ramach świadczeń gwarantowanych. PTMR/PTG 2018 wskazują, że procedura zapłodnienia pozaustrojowego (IVF lub ICSI) ma udowodnioną, najwyższą skuteczność spośród wszystkich metod wspomaganego rozrodu.

Celem głównym programu jest „uzyskanie w programie 9 ciąż (i narodziny min. 4 dzieci) par będących mieszkańcami Miasta Jelenia Góra poprzez dofinansowanie do zabiegu zapłodnienia pozaustrojowego w latach 2022-2026”. Do programu zostaną zakwalifikowane pary (wiek kobiety: 24-43 lata). Kryteriami kwalifikacji do leczenia niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego będą, poza wiekiem kobiety, także spełnienie określonych ustawą warunków podjęcia terapii zapłodnienia pozaustrojowego oraz wyrażenie zgody na procedurę. W pierwszej kolejności dostęp do PPZ uzyskają pary bezdzietne. Kryteria wykluczenia obejmą uczestnictwo w 3 poprzednich edycjach programu oraz niezameldowanie na terenie miasta Jelenia Góra. Uczestnicy programu będą zobligowani do pokrycia kosztów przechowywania kriokonserwowanych zarodków i ich transferu.

Proponowane interwencje to: kwalifikacja do programu oraz procedura zapłodnienia pozaustrojowego z wykorzystaniem własnych gamet pary

(dawstwo partnerskie) lub z wykorzystaniem nasienia dawcy (dawstwo inne niż partnerskie), procedura zapłodnienia pozaustrojowego z wykorzystaniem żeńskich komórek rozrodczych od anonimowej dawczyni (dawstwo inne niż partnerskie), procedura adopcji zarodka (dawstwo inne niż partnerskie).

Zaproponowany cel główny jest możliwy do zrealizowania, należy jednak zaznaczyć, że program jedynie w niewielkim stopniu wpłynie na liczbę nowych urodzeń, m.in. ze względu na zaproponowaną jego skuteczność, która według wnioskodawcy wyniesie 25%. Według danych „European Society of Human Reproduction and Embryology” (ESHRE) z 2017 r. średni wskaźnik ciąż w przeliczeniu na transfer zarodka wyniósł: w Europie 39,0% (dla IVF), 40,2% (dla ICSI), 33,1% (dla transferu zamrożonych zarodków) oraz 49,2% (dla dawstwa komórek jajowych). W Narodowym Programie Leczenia Niepłodności efektem było 32% ciąż klinicznych w przeliczeniu na transfer zarodka (IVF i ICSI).

Uczestnikom w ramach PPZ przysługiwać będzie możliwość dofinansowania do jednej procedury zapłodnienia pozaustrojowego w wysokości 5 000 zł na parę. Wydając opinie pozytywne Rada Przejrzystości podkreśla, że programy leczenia niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego – in vitro (w tym niniejszego programu) powinny co do zasady:

- zapewniać przejrzyste zasady sprawiedliwego dostępu do programu;
- zapewniać odpowiednie poradnictwo parom biorącym udział w programie (m.in. kwestie ryzyka związanego z udziałem w programie, w celu umożliwienia podjęcia świadomej decyzji);
- stwarzać obowiązek szczegółowego informowania beneficjentów o procedurze kriokonserwacji i zasadach jej finansowania, w tym wskazanie liczby komórek jajowych poddawanych zapłodnieniu, pozwalającej określić liczbę zarodków nadliczbowych poddawanych kriokonserwacji;
- określać postępowanie z kriokonserwowanymi zarodkami po zakończeniu projektu, na wypadek zakończenia działalności biobanku lub po upływie 20 lat ustawowego obowiązku kriokonserwacji;
- stwarzać możliwości skorzystania przez pary z procedury kriokonserwacji komórek jajowych, zamiast kriokonserwacji embrionów.

Uwaga Rady:

Zapłodnienie pozaustrojowe oznacza zapłodnienie in vitro, wobec czego proponowany tytuł zawiera pleonazm.

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.431.52.2022 „Leczenie niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego in vitro dla mieszkańców Jeleniej Góry w latach 2022-2026” realizowany przez: Miasto Jelenia Góra, Warszawa, sierpień 2022 oraz Aneksu „Programy z zakresu diagnostyki i leczenia niepłodności – wspólne podstawy oceny” z czerwca 2022 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 134/2022 z dnia 5 września 2022 roku
o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej w zakresie
diagnozowania i leczenia niepłodności dla mieszkańców Powiatu
Olkuskiego na rok 2023”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej w zakresie diagnozowania i leczenia niepłodności dla mieszkańców Powiatu Olkuskiego na rok 2023”, 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. Zgodnie z rekomendacjami PTMR/PTG 2018 procedura zapłodnienia pozaustrojowego (IVF, ICSI) ma udowodnioną, najwyższą skuteczność spośród wszystkich metod wspomaganego rozrodu. Leczenie niepłodności w drodze zapłodnienia pozaustrojowego nie jest finansowane w ramach świadczeń gwarantowanych.

Głównym celem ocenianego programu jest „ograniczenie zjawiska niezamierzonej bezdzietności wśród mieszkańców powiatu olkuskiego w trakcie trwania programu, poprzez zapewnienie parom dostępu do diagnostyki i leczenia niepłodności w wyniku, których prognozuje się narodziny około 3 dzieci”. Okres realizacji programu został zaplanowany na 2023 rok.

Do części diagnostycznej programu ma zostać zakwalifikowanych 50 par, a do części leczenia niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego – 12 par. W projekcie zaplanowano przeprowadzenie badania AMH, pakietu badań hormonalnych oraz rozszerzonego badania nasienia, trzech konsultacji w kierunku niepłodności (w tym konsultacji wstępnej m.in. z badaniem ginekologicznym i USG żeńskich narządów rodnych), konsultacji dietetycznej, a w przypadku nieprawidłowości w wynikach badań – także konsultacji andrologicznej i endokrynologicznej. Pacjenci zakwalifikowani do drugiej części programu uzyskają jednorazowe dofinansowanie w wysokości do 5 000 zł do procedury zabiegu zapłodnienia pozaustrojowego w ramach dawstwa partnerskiego lub innego niż partnerskie albo dofinansowanie w wysokości do 3 000 zł do procedury adopcji zarodka. Pary muszą natomiast wyrazić zgodę

na samodzielne pokrycie kosztów przechowywania kriokonserwowanych zarodków oraz ich ewentualnych kriotransferów, a także na pokrycie kosztów ewentualnej kriokonserwacji oocytów.

Realizator programu wybrany zostanie w drodze konkursu ofert. Projekt programu zakłada przeprowadzenie akcji informacyjnej, a także monitorowanie i ewaluację. Całkowity koszt programu wyniesie 149 000 zł. Program zostanie sfinansowany ze środków budżetu powiatu olkuskiego.

Uwagi Rady Przejrzystości:

- *Przyjęte cele szczegółowe, mierniki efektywności i kryteria ewaluacji wymagają skorygowania, stosownie do uwag zawartych w raporcie AOTMiT.*
- *Należy usunąć nieścisłość w zakresie tego czy koszt konsultacji psychologicznej jest objęty finansowaniem w ramach programu. W ocenie Rady, program powinien dawać możliwość uzyskania przez jego uczestników indywidualnych konsultacji z psychologiem.*
- *Przeniesienie na beneficjentów niektórych kosztów, np. związanych z przechowywaniem zamrożonych zarodków i oocytów oraz kriotransferów, może ograniczyć dostęp do programu mniej zamożnym parom.*

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.431.53.2022 „Program polityki zdrowotnej w zakresie diagnozowania i leczenia niepłodności dla mieszkańców Powiatu Olkuskiego” realizowany przez: Powiat Olkuski, Warszawa, sierpień 2022 oraz Aneksu „Programy z zakresu diagnostyki i leczenia niepłodności – wspólne podstawy oceny” z czerwca 2022 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 135/2022 z dnia 5 września 2022 roku
o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej profilaktyki
zakażeń meningokokowych dla dzieci z Gminy Kielce”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej profilaktyki zakażeń meningokokowych dla dzieci z Gminy Kielce”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

*Inwazyjna choroba meningokokowa (IChM) (ICD-10: A39) jest ciężką, gwałtownie postępującą chorobą bakteryjną wywołaną przez wtargnięcie dwoinek *Neisseria meningitidis* do krwi i/lub ośrodkowego układu nerwowego. IChM jest najczęstszą postacią zakażeń meningokokowych, zwykle przebiega jako sepsa (posocznica), ropne zapalenie opon mózgowo-rdzeniowych lub połączenie sepsy z równoczesnym zapaleniem opon mózgowych. Nawet w przypadku wczesnego zdiagnozowania choroby i zastosowania odpowiedniego leczenia, zakażenie kończy się zgonem w 5-10% przypadków, zazwyczaj w przeciągu 24-48h od wystąpienia objawów.*

Głównym założeniem projektu programu jest: „eliminacja ryzyka zachorowań na IChM dzieci w wieku 0-2 lat na chorobę meningokokową spowodowaną meningokokami serogrupy B u minimum 50% populacji docelowej w latach 2023-2025 poprzez wykonanie szczepień ochronnych”. Wnioskodawca wskazał również 2 cele szczegółowe: (1) „uzyskanie do 2025 r. co najmniej 50% zaszczepienia populacji dzieci kwalifikującej się do szczepienia w wieku 0 -2 lat na chorobę meningokokową spowodowaną meningokokami serogrupy B” oraz (2) „uzyskanie co najmniej 70% deklaracji rodziców dzieci o tym, że uzyskali wiedzę na temat zakażeń meningokokowych”. Okres realizacji programu został wyznaczony na lata 2023 – 2025.

Główne cele opiniowanego programu to obniżenie zapadalności na groźne choroby zakaźne, redukcja groźnych powikłań ww. chorób, ograniczenie inwazyjnej choroby meningokokowej, śmiertelności i powikłań z tego powodu, podwyższenie świadomości pro-zdrowotnej w ogólnej populacji Polaków w zakresie inwazyjnej choroby meningokokowej.

Zgodnie z treścią projektu, działania realizowane w ramach programu adresowane są do dzieci w wieku od 2 m.ż. do 2 r.ż. zamieszkujących na terenie gminy Kielce.

W programie wskazano, że miasto Kielce zamieszkuje 192 468 osób, w tym 2951 osób w wieku 0- 2 lata. Wnioskodawca wskazuje, że przez cały okres trwania programu, tj. 3 lata, przewidziano wykonanie 9000 szczepień, co przy schemacie 3 - dawkowym preparatu wskazuje na możliwość przeprowadzenia szczepień u 3 000 dzieci.

We wszystkich odnalezionych rekomendacjach zaleca się szczepienia ochronne przeciwko IChM. Ponadto część towarzystw rekomenduje szczepienia dawką przypominającą (ACIP 2020, AGDOH 2020, GoC 2015, PIDAC 2014). Zgodnie z informacjami zawartymi w odnalezionych rekomendacjach, większość organizacji naukowych zaleca szczepienia przeciwko 5 grupom serologicznym: A, B, C, Y oraz W - 135. W przypadku szczepień przeciwko MenB, eksperci zalecają szczepienia w grupie wiekowej między 10 a 24 r.ż. w sytuacji wybuchu lokalnej epidemii IChM (ACS/NACI 2019) oraz dla dzieci i młodzieży znajdującej się między 2 m.ż. a 17 r.ż. (PID AC 2014). Szczepienia p/MenACWY natomiast rekomendowane są przez organizacje PHE 2016 oraz AAP 2014. Warto zaznaczyć, że w przypadku PHE 2016 ww. zalecenia dotyczą wyłącznie personelu medycznego oraz pracowników wyższych uczelni naukowych. Dodatkowo eksperci AAP 2014 wskazują za zasadne prowadzenie szczepień p/MenACWY u dzieci i młodzieży w wieku między 2 m.ż. a 15 r.ż.

Ocena zgłaszalności do programu będzie prowadzona na podstawie rejestru dzieci aplikujących do programu. W zakresie oceny jakości świadczeń zaplanowano przeprowadzenie anonimowej ankiety satysfakcji. Wskazano również możliwość zgłaszania uwag do organizatora programu przez rodziców/opiekunów prawnych dzieci.

Koszt jednostkowy został oszacowany w projekcie na kwotę 400 zł, tj. koszt wykonania świadczenia szczepienia p/meningokokom typu B. Całkowity budżet programu oszacowano na 3 600 000 zł (1 200 000 zł rocznie).

Program ma zostać sfinansowany ze środków finansowych gminy Kielce.

Podstawowe uwagi, które można podnieść pod adresem ocenianego programu:

- W celu głównym nie wskazano uzasadnienia dla przyjętej wartości docelowej.
- W celu szczegółowym nr 1 nie wskazano uzasadnienia dla przyjętej wartości. Cel w tej formie nie odnosi się bezpośrednio do efektu zdrowotnego.
- W celu szczegółowym nr 2 należy zaznaczyć, że stanowi on tzw. wskaźnik deklaracyjny, co jest podejściem nieprawidłowym. Możliwy byłby wzrost wiedzy w związku z wdrażanymi działaniami edukacyjnymi, natomiast w projekcie nie zaplanowano przeprowadzenia pre- i post- testu. Nie będzie możliwy pomiar przyrostu wiedzy.

- *Nie przedstawiono poprawnie sformułowanych mierników efektywności, odnoszących się do celów programu.*
- *Nie odniesiono się do pozostałych kosztów jednostkowych, np. monitorowania i ewaluacji oraz akcji informacyjnej.*
- *W projekcie nie uwzględniono ewaluacji programu opartej na porównaniu stanu sprzed wprowadzenia działań w ramach programu, a stanem po jego zakończeniu.*

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.431.54.2022 „Program polityki zdrowotnej profilaktyki zakażeń meningokokowych dla dzieci z Gminy Kielce” realizowany przez: Gminę Kielce, Warszawa, sierpień 2022 oraz Raportu nr: OT.434.4.2021 „Profilaktyka zakażeń meningokokowych” z czerwca 2021 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 136/2022 z dnia 5 września 2022 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną
arsenicum trioxidum 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 arsenicum trioxidum we wskazaniu pozarejestacyjnym: C92.4 ostra białaczka promielocytowa w przypadku: pacjentów poniżej 18 roku życia z rozpoznaniem ostrej białaczki promielocytowej charakteryzującej się translokacją t(15;17) i (lub) obecnością genu PML/RAR-alfa.

Uzasadnienie

W ramach aktualizacji przeglądu odnaleziono nowe badania spełniające kryteria włączenia – 2 randomizowane badania: Luo 2022 i Kutny 2019, 1 badanie prospektywne obserwacyjne Strocchio 2018 oraz 5 badań retrospektywnych: Jabbar 2021, Testi 2021, Li 2021, Czogała 2020 oraz Garcia Spezza 2019. Wyniki odnalezionych badań wskazują, że leczenie ostrej białaczki promielocytowej, z uwzględnieniem schematu ATO + ATRA (trójtlenek arsenu + kwas all-transretinowy), wydaje się być skuteczną terapią w populacji dzieci i młodzieży. Ponadto zwraca się uwagę na korzystniejszy profil bezpieczeństwa, w porównaniu ze standardową chemioterapią. W większości odnalezionych badań wskazuje się, jako ograniczenia, brak standaryzowanych punktów czasowych follow-up oraz niewielką liczbę pacjentów. Badanie z dłuższym okresem obserwacji są pożądane, aby stwierdzić czy skuteczność terapii jest długoterminowo utrzymywana.

W ramach aktualizacji wyszukiwania odnaleziono polskie wytyczne PTOK z 2020 r., w których zastosowanie ATO w skojarzeniu z ATRA zaleca się standardowo w nawrocie choroby. Wytyczne rekomendują rozważenie tego schematu także u nowozdiagnozowanych pacjentów niskiego i pośredniego ryzyka. W wytycznych nie wyodrębnia się specjalnego postępowania u dzieci i młodzieży.

Refundacja leków zawierających substancję czynną arsenicum trioxidum została pozytywnie zaopiniowana przez Radę Przejrzystości w 2016 i w 2019 roku. Nowe

dowody naukowe potwierdzają zasadność kontynuowania refundacji leku we wskazaniu: pacjenci poniżej 18 roku życia z rozpoznaniem ostrej białaczki promielocytowej charakteryzującej się translokacją t (15;17) i (lub) obecnością genu PML/RAR-alfa.

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.4221.38.2022 (Aneks do opracowania nr: OT.4321.38.2019) „Arsenicum trioxidum we wskazaniu: pacjenci poniżej 18 roku życia z rozpoznaniem ostrej białaczki promielocytowej charakteryzującej się translokacją t (15;17) i (lub) obecnością genu PML/RAR-alfa”. Data ukończenia: 31 sierpnia 2022 r.