



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

BP.401.33.2022.BW

Protokół nr 31/2022
z posiedzenia Rady Przejrzystości
w dniu 8 sierpnia 2022 roku
w formie wideokonferencji

Rafał Niżankowski otworzył posiedzenie o godzinie 10:02.

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

1. Anna Gręziak
2. Maciej Karaszewski
3. Dorota Kilańska
4. Marcin Lipowski
5. Adam Maciejczyk
6. Michał Myśliwiec
7. Rafał Niżankowski
8. Tomasz Pasierski
9. Janusz Szyndler
10. Rafał Suwiński

Proponowany porządek obrad:

1. Ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku: Ozurdex (dexamethasonum) w ramach programu lekowego „Leczenie zapalenia błony naczyniowej oka (ZBN) – część pośrednia, odcinek tylny lub cała błona naczyniowa (ICD-10 H 20.0, H 30.0)”.
3. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności wprowadzenia zmian w dotychczasowym opisie programu lekowego B.44. „Leczenie chorych z ciężką postacią astmy (ICD-10: J45, J82)”.
4. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności wprowadzenia zmian w dotychczasowym opisie programu lekowego B.82. „Leczenie pacjentów z aktywną postacią spondyloartropatii (SpA) bez zmian radiograficznych charakterystycznych dla ZZSK (ICD-10: M46.8)”.
5. Przygotowanie przez Radę Przejrzystości opinii w sprawie substancji czynnej etanercept we wskazaniu pozarejestacyjnym do stosowania w postaci obwodowej SpA w programie lekowym B.82.
6. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego Fycompa (perampanelum) we wskazaniach: padaczka lekooporna, padaczka lekooporna z napadami ogniskowymi.



7. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego Inovelon (rufinamidum) we wskazaniach padaczka lekooporna; zespół Lennox - Gastauta; zespół Westa; zespół Rasmussena.
8. Przygotowanie opinii o projektach programów polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego:
 - 1) „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania raka piersi u kobiet zamieszkałych na terenie Gminy Toszek powyżej 25. roku życia”,
 - 2) Dofinansowanie do leczenia niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego dla mieszkańców Rzeszowa na lata 2022-2025”,
 - 3) „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania chorób tarczycy na lata 2023-2025” (m. Leszno).

9. Zakończenie posiedzenia.

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

Rada zmieniła kolejność omawiania tematów i jednogłośnie (10 osób obecnych) przyjęła poniższy porządek obrad:

2. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku: Ozurdex (dexamethasonum) w ramach programu lekowego „Leczenie zapalenia błony naczyniowej oka (ZBN) – część pośrednia, odcinek tylny lub cała błona naczyniowa (ICD-10 H 20.0, H 30.0)”.
3. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności wprowadzenia zmian w dotychczasowym opisie programu lekowego B.44. „Leczenie chorych z ciężką postacią astmy (ICD-10: J45, J82)”.
4. Przygotowanie przez Radę Przejrzystości opinii w sprawie substancji czynnej etanercept we wskazaniu pozarejestacyjnym do stosowania w postaci obwodowej SpA w programie lekowym B.82.
5. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności wprowadzenia zmian w dotychczasowym opisie programu lekowego B.82. „Leczenie pacjentów z aktywną postacią spondyloartropatii (SpA) bez zmian radiograficznych charakterystycznych dla ZZSK (ICD-10: M46.8)”.
6. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego Fycompa (perampamelum) we wskazaniach: padaczka lekooporna, padaczka lekooporna z napadami ogniskowymi.
7. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego Inovelon (rufinamidum) we wskazaniach padaczka lekooporna; zespół Lennox - Gastauta; zespół Westa; zespół Rasmussena.
8. Przygotowanie opinii o projektach programów polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego:
 - 1) „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania raka piersi u kobiet zamieszkałych na terenie Gminy Toszek powyżej 25. roku życia”,
 - 2) Dofinansowanie do leczenia niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego dla mieszkańców Rzeszowa na lata 2022-2025”,
 - 3) „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania chorób tarczycy na lata 2023-2025” (m. Leszno).

9. Zakończenie posiedzenia.

Ad 2. Analitik Agencji przedstawił prezentację leku Ozurdex (wniosek refundacyjny) w ramach programu lekowego dot. leczenia zapalenia błony naczyniowej oka (ZBN) – część pośrednia, odcinek tylny lub cała błona naczyniowa.

Propozycję stanowiska Rady przedstawił Maciej Karaszewski.

W dyskusji i formułowaniu finalnej wersji stanowiska Rady udział wzięli: Rafał Niżankowski, Janusz Szyndler, Maciej Karaszewski i Michał Myśliwiec.

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

Ad 3. Analitik Agencji omówił proponowane zmiany w programie lekowym B.44 dot. leczenia chorych z ciężką postacią astmy (ICD-10: J45, J82), a propozycję opinii Rady przedstawił Tomasz Pasierski.

W dyskusji udział wzięli: Michał Myśliwiec i Tomasz Pasierski.

Wobec braku innych głosów w dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 2 do protokołu).

Ad 4. Rafał Niżankowski przedstawił propozycję opinii Rady w sprawie leków zawierających substancję czynną etanercept (off label) we wskazaniu pozarejestacyjnym do stosowania w postaci obwodowej SpA w programie lekowym B.82.

Wobec braku głosów w dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosami „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 3 do protokołu).

Ad 5. Analitik Agencji przedstawił proponowane zmiany w programie lekowym B.82. dot. leczenie pacjentów z aktywną postacią spondyloartropatii (SpA) bez zmian radiograficznych charakterystycznych dla ZZSK (ICD-10: M46.8).

Propozycję stanowiska Rady przedstawił Janusz Szyndler.

W dyskusji udział wzięli: Rafał Niżankowski i Janusz Szyndler.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 4 do protokołu).

Ad 6. Analitik Agencji podsumował raport dot. produktu leczniczego Fycompa (import docelowy) we wskazaniach: padaczka lekooporna, padaczka lekooporna z napadami ogniskowymi, a propozycję stanowiska Rady przedstawił Marcin Lipowski.

W dyskusji i formułowaniu stanowiska Rady udział wzięli: Janusz Szyndler, Michał Lipowski i Rafał Niżankowski.

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

Ad 7. Analitik Agencji podsumował opracowanie dot. produktu leczniczego Inovelon (import docelowy) we wskazaniach padaczka lekooporna; zespół Lennox - Gastauta; zespół Westa; zespół Rasmussena, a propozycję stanowiska Rady przedstawiła Dorota Kilańska.

W dyskusji i formułowaniu stanowiska Rady udział wzięli: Janusz Szyndler, Maciej Karaszewski, Dorota Kilańska i Rafał Niżankowski.

Wobec braku innych głosów w dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 6 do protokołu).

Ad. 8. 1). Analityk Agencji zaprezentował założenia programu polityki zdrowotnej dot. profilaktyki i wczesnego wykrywania raka piersi u kobiet zamieszkałych na terenie Gminy Toszek powyżej 25. roku życia, a propozycję opinii Rady przedstawił Adam Maciejczyk.

W dyskusji uczestniczyli: Rafał Niżankowski, Tomasz Pasierski i Adam Maciejczyk.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 9 głosami „za”, przy 1 głosie „przeciw” (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 7 do protokołu).

2) Analityk Agencji wskazał kluczowe elementy programu polityki zdrowotnej dot. dofinansowania do leczenia niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego dla mieszkańców Rzeszowa, a propozycję opinii Rady przedstawił Rafał Niżankowski.

Wobec braku głosów w dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 6 głosami „za”, przy 3 głosach „przeciw” (9 osób obecnych; Adam Maciejczyk nie uczestniczył w głosowaniu, ze względu na chwilową nieobecność na posiedzeniu) uchwaliła warunkowo pozytywną opinię (załącznik nr 8 do protokołu).

3) Analityk Agencji przedstawił informacje o programie polityki zdrowotnej Leszna dot. profilaktyki i wczesnego wykrywania chorób tarczycy na lata 2023-2025, a propozycję opinii Rady przedstawił Rafał Suwiński.

W związku z brakiem dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 9 do protokołu).

Ad 9. Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 12:17.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 71/2022 z dnia 8 sierpnia 2022 roku
w sprawie oceny leku Ozurdex (dexamethasonum) w ramach
programu lekowego „Leczenie zapalenia błony naczyniowej
oka (ZBN) – część pośrednia, odcinek tylny lub cała błona naczyniowa
(ICD-10 H20.0, H30.0)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Ozurdex (dexamethasonum), 700 mcg, 1 implant do ciała szklistego w aplikatorze, kod GTIN: 05909990796663, w ramach programu lekowego „Leczenie zapalenia błony naczyniowej oka (ZBN) – część pośrednia, odcinek tylny lub cała błona naczyniowa (ICD-10 H20.0, H30.0)”, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie, pod warunkiem obniżenia kosztów leku (lub odpowiedniego poprawienia RSS) [redacted].

Rada uważa, że należy utworzyć jeden, wspólny program leczenia obrzęku plamki żółtej w przebiegu różnych jednostek chorobowych.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Zapalenie błony naczyniowej (ZBN), zgodnie z definicją, jest zapaleniem dotyczącym tkanek naczyńki. Obecnie termin ten jest jednak używany do określenia różnych postaci zapaleń wewnątrzgałkowych, które obejmują nie tylko naczyniówkę, ale również siatkówkę wraz z jej naczyniami.

Przedmiotowe zlecenie dotyczy następujących stanów klinicznych: zapalenie pośredniej części błony naczyniowej, zapalenie tylnego odcinka błony naczyniowej, zapalenie wszystkich struktur błony naczyniowej. W ok. 10% przypadków ma ono związek z chorobami układowymi, np. sarkoidozą i stwardnieniem rozsianym. W 90% jest to zapalenie idiopatyczne. Szacowana roczna zapadalność na ZBN wynosi od 17 do 52 na 100 000 osób, a roczna chorobowość od 69 do 114 osób na 100 tys. W Polsce liczba pacjentów z zapaleniem błony naczyniowej oka wymagająca leczenia wynosi między 400 a 1200 pacjentów rocznie. Leczenie powinno być zindywidualizowane, zalecane jest leczenie doustne (kortykosteroidy, leki immunosupresyjne) i w iniekcjach do ciała szklistego oka lub okołogałkowo: triamcynolon, metyloprednisolon, leki



anty-VEGF (bewacyzumab, ranibizumab, aflibercept) oraz adalimumab w ramach programu lekowego.

Dowody naukowe

W badaniu POINT porównywano implant zawierający deksametazon 0,7 mg podawany doszkliskowo (DEX) z acetonidem triamcynolonu 4 mg podawanym doszkliskowo (ITA) w zakresie skuteczności klinicznej. W zakresie punktów końcowych: najlepsza skorygowana ostrość wzroku, pomiar obrzęku plamki, pomiar grubości siatkówki w polu centralnym nie odnotowano różnic istotnych statystycznie pomiędzy porównywanymi terapiami. W zakresie bezpieczeństwa terapii, również nie odnotowano różnic istotnych statystycznie.

W badaniu HURON dokonano porównania implantu zawierającego deksametazon 0,7 mg podawanego doszkliskowo (DEX) z procedurą pozorowaną (operacja SHAM). W zakresie punktów końcowych: najlepsza skorygowana ostrość wzroku – poprawa istotna statystycznie w 8 i 26 tygodniu po zabiegu w grupie deksametazonu, pomiar obrzęku plamki wskazuje na przewagę deksametazonu nad procedurą SHAM w 8 tyg. po zabiegu, jednak w późniejszym okresie (26 tyg. po zabiegu) różnica ta nie była istotna statystycznie, ocena zmętnienia w ciele szklistym - implant z deksametazonem okazał się IS lepszy niż interwencja pozorowana w zakresie uzyskania wyniku równego zero w populacji ITT, u chorych bez komórek zapalnych w komorze przedniej oraz u chorych z początkowym wynikiem +1,5 lub +2 w skali zmętnienia ciała szklistego we wszystkich ocenianych punktach czasowych. Jednakże, nie odnotowano IS różnicy pomiędzy interwencjami w zakresie uzyskania wyniku zero u chorych z początkowym wynikiem +3 lub +4 w skali zmętnienia ciała szklistego.

Wyniki trzech badań obserwacyjnych (Wallsh 2020, Teja 2019, Pleyer 2014) wskazują, że zastosowanie DEX nie miało IS wpływu na najlepszą skorygowaną ostrość wzroku w stosunku do wartości wyjściowej. Ponadto, odnalezione badania interwencyjne zgodnie wskazują, że zastosowanie DEX miało IS wpływ na zmniejszenie grubości plamki (Wallsh 2020, Pleyer 2014), zmniejszenie centralnej grubości siatkówki (Teja 2019, Hasanreisoglu 2019) oraz zwiększenie odsetka chorych bez zmętnienia ciała szklistego (Hasanreisoglu 2019, Pleyer 2014).

Problem ekonomiczny

Wnioskodawca nie przedstawił badań RCT dowodzących wyższości wnioskowanej interwencji nad refundowanym komparatorem, zatem zachodzą okoliczności opisane w art. 13 ustawy o refundacji. Urzędowa cena zbytu, przy której koszt stosowania deksametazonu jest nie wyższy niż koszt stosowania acetonidu triamcynolonu, wynosi ██████████. Objęcie refundacją produktu Ozurdex w ramach wnioskowanego programu lekowego, spowoduje wzrost wydatków

w wariantcie uwzględniającym propozycję instrumentu podziału ryzyka o [REDACTED] i [REDACTED] odpowiednio w pierwszym i kolejnym roku refundacji.

Główne argumenty decyzji

1. Dostępne badania nie wskazują na przewagę wnioskowanej terapii nad aktualnie stosowanym acetonidem triamcynolonu.
2. Koszt wnioskowanej terapii [REDACTED].
O ile koszt wnioskowanej terapii pozostałby na proponowanym poziomie, nie istnieje uzasadnienie dla finansowania terapii ze środków publicznych.

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 2022 r., poz. 463), 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.4231.23.2022 „Ozurdex (deksametazon) w leczeniu zapalenia błony naczyniowej oka – część pośrednia, odcinek tylny lub cała błona naczyniowa (ICD-10 H20.0, H30.0)”. Data ukończenia: 27.07.2022 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

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



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 121/2022 z dnia 8 sierpnia 2022 roku
w sprawie zmian w programie lekowym B.44 „Leczenie chorych
z ciężką postacią astmy (ICD-10: J45, J82)”

Rada Przejrzystości uważa za zasadne wprowadzenie zmian w dotychczasowym opisie programu lekowego B.44 „Leczenie chorych z ciężką postacią astmy (ICD-10: J45, J82)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

W ramach programu lekowego B.44 „Leczenie chorych z ciężką postacią astmy (ICD-10: J45, J82)” stosowane są leki omalizumab, mepolizumab, benralizumab i dupilumab.

Niniejsza opinia dotyczy rozszerzenia możliwości leczenia dupilumabem w ramach programu lekowego na populację pacjentów z liczbą eozynofili we krwi ≥ 150 komórek/ μ l oraz stosującej wysokie dawki glikokortykosteroidów. Stanowi to ujednoczenie kryteriów włączenia dla mepolizumabu, benralizumabu oraz dupilumabu.

Dowody naukowe

W trzech rekomendacjach: międzynarodowych GINA 2022, europejskich EAACI 2021 oraz polskich PTA/PTChP 2020 wskazano, że dupilumab zaleca się u pacjentów z ciężką astmą z zapaleniem typu 2 u pacjentów z liczbą eozynofili ≥ 150 komórek/ μ l lub stężeniem FeNO ≥ 25 ppb (> 20 ppb w wytycznych EAACI 2021), lub przewlekle stosujących doustne glikokortykosteroidy.

Problem ekonomiczny

Liczebność populacji z liczbą eozynofili we krwi ≥ 150 komórek/ μ l oraz stosującej wysokie dawki glikokortykosteroidów to ok. 20 pacjentów rocznie. Dodanie dupilumabu do grupy terapii możliwych do zastosowania (tj. mepolizumabu i benralizumabu) w tej grupie pacjentów prawdopodobnie nie wpłynie na zmianę jej liczebności, a jedynie na wielkość udziałów poszczególnych leków. Zgodnie z przeprowadzoną analizą, akceptacja zaproponowanych dla DUP zmian spowoduje wzrost wydatków płatnika publicznego o 56,8 tys. zł lub [REDACTED] (w zależności od źródła danych; odpowiednio dla danych z Obwieszczenia



MZ i danych NFZ) w pierwszym oraz 161,5 tys. zł lub [REDACTED] w drugim roku leczenia pacjentów.

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.4220.19.2022 „Opracowanie dotyczące oceny zasadności wprowadzenia zmian w dotychczasowym opisie programu lekowego B.44: Leczenie chorych z ciężką postacią astmy (ICD-10: J45, J82)”. Data ukończenia: 3 sierpnia 2022 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców (Sanofi-Aventis Sp. z o.o., AstraZeneca AB, GSK Services Sp. z o.o.).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem (Sanofi-Aventis Sp. z o.o., AstraZeneca AB, GSK Services 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: (Sanofi-Aventis Sp. z o.o., AstraZeneca AB, GSK Services Sp. z o.o.).



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 122/2022 z dnia 8 sierpnia 2022 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną etanercept w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj. leczenie obwodowej postaci SpA

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną etanercept w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj. leczenie obwodowej postaci SpA w ramach programu lekowego B.82.

Uzasadnienie

Do proponowanych zmian w programie lekowym B.82 należy umożliwienie stosowania leków zawierających etanercept u pacjentów z obwodową postacią spondyloartropatii (SpA). Wg dotychczasowej treści programu B.82 etanercept był refundowany jedynie pacjentom z osiową postacią tej choroby, natomiast w postaci obwodowej są refundowane certolizumab pegol (Cimzia), iksekizumab (Taltz) oraz sekukinumab (Cosentyx). Wymienione produkty są zarejestrowane do leczenia postaci osiowej, zatem w programie w postaci obwodowej są dopuszczone off-label. Obecnie analizowana zmiana dotyczy umożliwienia stosowania w tym wskazaniu kolejnego leku biologicznego off-label.

W wyniku przeszukania literatury naukowej odnaleziono 3 badania kliniczne etanerceptu u pacjentów z obwodową SpA:

- Dougados 2010, podwójnie zaślepienie RCT oceniało u 24 pacjentów z opornym na leczenie zapaleniem przyczepów piętowych skuteczność etanerceptu w porównaniu do placebo. W ciągu 12 tygodni leczenia wykazano znamiennej statystycznie różnicę na korzyść etanerceptu. Poprawę odnotowano również w drugorzędowych punktach końcowych.*
- Kruithof 2005, prospektywne badanie 20 chorych. Po 12 tygodniach leczenia stwierdzono znaczną poprawę ogólnego stanu pacjentów oraz poprawę mierzoną markerami stanu zapalnego. Poprawa ta utrzymywała się przez cały okres badania. Odpowiedź na leczenie była podobna w różnych podtypach SpA.*



- *Fiocco 2012, prospektywne badanie „open-label” u 27 dorosłych spełniających kryteria dla obwodowych SpA. W porównaniu z wartościami wyjściowymi równo USG, jak i MRI na koniec badania wykazały znamiennej statystycznie poprawę.*

Zalecenia UpToDate z 2022 roku dotyczące leczenia SpA obwodowej rekomendują:

- *U pacjentów z obwodowym zapaleniem stawów i niewystarczającą odpowiedzią na leczenie NLPZ, dostawowymi i doustnymi GKS w małych dawkach, zaleca się nie-biologiczne DMARD takie jak: sulfasalazyna, metotreksat lub leflunomid. Wybór leku zależy od chorób współistniejących oraz preferencji lekarza i pacjenta.*
- *U pacjentów z obwodowym zapaleniem stawów, opornym na terapię nie-biologicznymi DMARD zaleca się biologiczne DMARD. Preferowany jest jeden z inhibitorów TNF alfa - adalimumab, golimumab lub etanercept. Stosuje się też infliksymab (brak RCT w obwodowej SpA), ertolizumab (brak RCT w obwodowej SpA).*
- *Alternatywną wobec inhibitorów TNF-alfa są inhibitory interleukiny (IL17) - sekukinumab i iksekizumab oraz inhibitory kinazy janusowej (JAK) - tofacitinib i upadacitinib.*

W opinii trzech ankietowanych ekspertów, proponowane zmiany w programie lekowym B.82 są uzasadnione klinicznie i nie będą miały dużego wpływu na populację pacjentów leczonych w ramach tego programu.

Analiza wpływu na budżet z perspektywy NFZ wskazuje na [REDAKTOWANE] wydatków całkowitych w programie lekowym w wyniku dopuszczenia etanerceptu, z uwagi, iż [REDAKTOWANE]

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 finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr: OT.4221.37.2022 „Opracowanie dotyczące oceny zasadności wprowadzenia zmian w dotychczasowym opisie programu lekowego: B.82 »Leczenie pacjentów z aktywną postacią spondyloartropatii bez zmian radiograficznych charakterystycznych dla ZZSK (ICD-10: M46.8)« oraz etanercept we wskazaniu: leczenie postaci obwodowej SpA w programie lekowym B.82”. Data ukończenia: 3 sierpnia 2022 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców (Pfizer Europe MA EEIG, Sandoz GmbH, UCB Pharma SA, Eli Lilly Polska Sp. z o.o., Novartis Poland sp. z o.o.).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem (Pfizer Europe MA EEIG, Sandoz GmbH, UCB Pharma SA, Eli Lilly Polska Sp. z o.o., Novartis Poland 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 Europe MA EEIG, Sandoz GmbH, UCB Pharma SA, Eli Lilly Polska Sp. z o.o., Novartis Poland sp. z o.o.).



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 123/2022 z dnia 8 sierpnia 2022 roku

w sprawie zmian w programie lekowym B.82 „Leczenie pacjentów z aktywną postacią spondyloartropatii (SpA) bez zmian radiograficznych charakterystycznych dla ZZSK (ICD-10: M46.8)”

Rada Przejrzystości uważa za zasadne wprowadzenie zmian w dotychczasowym opisie programu lekowego B.82 „Leczenie pacjentów z aktywną postacią spondyloartropatii (SpA) bez zmian radiograficznych charakterystycznych dla ZZSK (ICD-10: M46.8)”.

Uzasadnienie

Minister Zdrowia przekazał Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT) zlecenie dotyczące przygotowania opinii oceniającej zasadność wprowadzenia zmian w programie lekowym B.82 „Leczenie pacjentów z aktywną postacią spondyloartropatii bez zmian radiograficznych charakterystycznych dla ZZSK (ICD-10: M46.8)”.

Proponowana zmiana w zapisach programu lekowego dotyczy możliwości zastosowania etanerceptu (inhibitora TNF α) u pacjentów z obwodową postacią spondyloartropatii (zasadność kliniczna stosowania etanerceptu w proponowanym wskazaniu pozarejestacyjnym, tj. obwodowej postaci spondyloartropatii w ramach programu B.82 jest przedmiotem odrębnej opinii Rady).

Wprowadzenie ewentualnej możliwości leczenia pacjentów z obwodową postacią spondyloartropatii przy pomocy etanerceptu będzie wiązało się z niewielkim (5-8%) zwiększeniem populacji objętej leczeniem biologicznym. Niemniej w związku z faktem, iż możliwość podawania etanerceptu będzie się wiązała z redukcją populacji, w której będą stosowane bardzo drogie inhibitory IL-17, pomimo objęcia leczeniem szerszej populacji będzie się wiązała z [REDACTED] ponoszonych przez płatnika publicznego.

Podsumowując, Rada Przejrzystości stoi na stanowisku, że proponowane zmiany w programie B.82 są uzasadnione, niemniej są one warunkowane uzyskaniem pozytywnej rekomendacji dla zastosowania etanerceptu we wskazaniu



pozarejestracyjnym, tj. leczenie postaci obwodowej spondyloartropatii bez zmian radiograficznych.

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 na potrzeby oceny zasadności finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr: OT.4221.37.2022 „Opracowanie dotyczące oceny zasadności wprowadzenia zmian w dotychczasowym opisie programu lekowego: B.82 »Leczenie pacjentów z aktywną postacią spondyloartropatii bez zmian radiograficznych charakterystycznych dla ZZSK (ICD-10: M46.8)« oraz etanercept we wskazaniu: leczenie postaci obwodowej SpA w programie lekowym B.82”.
Data ukończenia: 3 sierpnia 2022 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców (Pfizer Europe MA EEIG, Sandoz GmbH, UCB Pharma SA, Eli Lilly Polska Sp. z o.o., Novartis Poland sp. z o.o.).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem (Pfizer Europe MA EEIG, Sandoz GmbH, UCB Pharma SA, Eli Lilly Polska Sp. z o.o., Novartis Poland 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 Europe MA EEIG, Sandoz GmbH, UCB Pharma SA, Eli Lilly Polska Sp. z o.o., Novartis Poland sp. z o.o.).



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 72/2022 z dnia 8 sierpnia 2022 roku

w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku Fycompa (perampanelum) we wskazaniach: padaczka lekooporna, padaczka lekooporna z napadami ogniskowymi

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację, w ramach importu docelowego, leku Fycompa (perampanelum), tabletki powlekane/zawiesina doustna, we wskazaniach: padaczka lekooporna, padaczka lekooporna z napadami ogniskowymi.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Padaczka jest przewlekłą chorobą mózgu, cechującą się trwałą skłonnością do występowania napadów padaczkowych nieprovokowanych lub odruchowych. Padaczka lekooporna jest rozpoznawana, gdy dwie kolejne próby interwencji lekowych w monoterapii lub terapii dodanej (dobrze tolerowanych, właściwie dobranych i odpowiednio użytych) nie doprowadzą do osiągnięcia utrwalonej i pełnej kontroli napadów. Według eksperta klinicznego, o którego opinię wystąpiła Agencja, obecna liczba chorych na padaczkę lekooporną wynosi ok. 100 000, z czego u ok. 80% chorych występuje typ z napadami ogniskowymi.

Perampanel jest pierwszą substancją z grupy selektywnych, niekompetycyjnych antagonistów glutaminergicznych receptorów jonotropowych AMPA (kwas alfa-amino-3-hydroksy-5-metylo-4-izoksazolepropionowy) na części postsynaptycznej neuronów. Glutaminian jest głównym neuroprzekaźnikiem pobudzającym w ośrodkowym układzie nerwowym i ma udział w rozwoju zaburzeń neurologicznych spowodowanych nadmiernym pobudzeniem neuronów. Produkt Fycompa został zarejestrowany przez EMA w ramach procedury centralnej.

Produkt leczniczy Fycompa nie był dotychczas przedmiotem oceny Agencji.

Dowody naukowe

Do analizy skuteczności i bezpieczeństwa produktu Fycompa włączono 2 badania:



- *French 2015 – randomizowane, podwójnie zaślepienie, kontrolowane placebo, fazy III, oceniające skuteczność perampanelu w leczeniu padaczki lekoopornej z pierwotnie uogólnionymi napadami toniczno-klonicznymi u pacjentów dorosłych. Stwierdzono istotnie wyższą medianę procentowej zmiany częstości napadów na 28 dni (-38,4% vs -76,5%; $p < 0,0001$) oraz istotnie wyższy odsetek pacjentów, u których stwierdzono 50% redukcję częstotliwości napadów (39,5% vs 64,2%; $p = 0,0019$). W okresie podtrzymania dawki, u 12,3% pacjentów w grupie placebo oraz 30,9% w grupie perampanelu stwierdzono ustąpienie pierwotnie uogólnionych napadów toniczno-klonicznych. Brak napadów padaczkowych stwierdzono u 4,9% pacjentów w grupie placebo oraz 23,5% w grupie perampanelu.*
- *Fogarasi 2020 – badanie jednoramienne open-label, oceniające skuteczność perampanelu w leczeniu padaczki lekoopornej z pierwotnie uogólnionymi napadami toniczno-klonicznymi oraz napadami ogniskowymi u pacjentów od 4 do 12 r.ż. W obydwu grupach stwierdzono redukcję częstości napadów oraz obecność pacjentów wolnych od napadów padaczkowych, co jest spójne z wynikami wcześniejszych ocen.*

W odnalezionych wytycznych klinicznych (PTN 2020, PTE 2019, NICE 2021, SIGN 2021, SIGN 2018, AAN/AES 2018) perampanel znajduje miejsce w terapii dodanej drugiego rzutu leczenia padaczki ogniskowej.

Problem ekonomiczny

Wg informacji od eksperta klinicznego, potencjalnie perampanelem leczonych może być ok. 1600 pacjentów/rok. W zależności od przyjętych źródeł danych (dawkowania oraz kosztowych), dzienny koszt stosowania leku u jednego pacjenta wyniesie od 23,73 do ████████, a roczny od 8.669,20 do ████████. Wg informacji MZ w latach 2021-2022 sprowadzono w ramach importu docelowego łącznie 56 opakowań produktu Fycompa (za kwotę 28.304,08 zł) dla tylko 9 pacjentów. Zgodnie z polskimi wytycznymi (PTE 2019) perampanel należy do grupy leków rekomendowanych w terapii dodanej drugiego rzutu leczenia padaczki; w grupie tej wymieniono jeszcze osiem innych leków (m.in. starszych i tańszych). Wobec tego, potencjalna liczba 1600 pacjentów/rok wydaje się znacznie przeszacowana.

Główne argumenty decyzji

Dostępne argumenty z publikacji naukowych oraz rekomendacje kliniczne wskazują na skuteczność leku we wnioskowanych wskazaniach.

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.4211.6.2022 „Fycompa we wskazaniach: padaczka lekooporna, padaczka lekooporna z napadami ogniskowymi”. Data ukończenia: 03.08.2022 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy: firm farmaceutycznych, których dane m.in. o cenach leków, zawarte są w bazie EURIPID.

Zakres wyłączenia jawności:

Podstawa prawna wyłączenia jawności: art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (t.j. Dz. U. 2022 r., poz. 902 z późn. zm.) w zw. z art. 11 ust. 2 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (t.j. Dz. U. z 2022 r., poz. 1233 z późn. zm.).

Organ dokonujący wyłączenia jawności: Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: firmy farmaceutyczne, których dane m.in. o cenach leków, zawarte są w bazie EURIPID.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 73/2022 z dnia 8 sierpnia 2022 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku Inovelon
(rufinamidum) we wskazaniach: padaczka lekooporna, zespół
Lennox-Gastauta, zespół Westa, zespół Rasmussena

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację leków:

- *Inovelon (rufinamidum), tabletki, 100mg,*
- *Inovelon (rufinamidum), tabletki, 200mg,*
- *Inovelon (rufinamidum), tabletki, 400mg,*
- *Inovelon (rufinamidum), roztwór doustny, 40 mg/ml,*

we wskazaniach: padaczka lekooporna, zespół Lennox-Gastauta, zespół Westa, zespół Rasmussena.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Minister Zdrowia pismem PLD.45340.559.2021.1.SG zlecił zbadanie zasadności wydawania zgody na refundację w ramach importu docelowego produktu leczniczego Inovelon (rufinamidum) tabletki: à 100 mg; à 200 mg; à 400 mg, roztwór doustny, 40 mg/ml we wskazaniach: padaczka lekooporna, zespół Lennox-Gastauta, zespół Westa, zespół Rasmussena.

Dowody naukowe

Rufinamid zalecany jest w leczeniu LGS jako terapia dodana (wskazanie rejestracyjne) w wytycznych NICE 2022 (trzecia linia), SIGN 2021, BG 2021 (pierwsza linia), PTE 2019. Wytyczne odnoszące się do zespołu Westa (ang. infantile spasms syndrome; tj. AOCN-IES 2021, BGE 2021, SIGN 2021, NICE 2022) nie wymieniają rufinamidu wśród terapii lekowych. W leczeniu padaczki lekoopornej rufinamid wskazano w wytycznych NICE 2022 w przypadku napadów tonicznych lub atonicznych w trzeciej linii, a także w zaleceniach PTE 2019 jako jeden z leków trzeciego rzutu w ramach terapii dodanej dla napadów z ogniskowym początkiem oraz napadów ruchowych atonicznych i/lub tonicznych z uogólnionym początkiem.

W wyniku przeprowadzonego wyszukiwania, zidentyfikowano wytyczne, z których 4 dotyczą leczenia padaczek (w tym zespołów Westa i LGS – NICE 2022,



SIGN 2021, BG 2021, PTE 2019), wytyczne AOCN-IES 2021 dot. leczenia zespołu Westa.

Wyniki 2 przeglądów systematycznych w zakresie skuteczności klinicznej we wskazaniu zespół Lennox-Gastaut (Devi 2022, Brigo 2021) wykazały IS korzyść rufinamidu w porównaniu do placebo w zakresie $\geq 50\%$ redukcji napadów padaczkowych. W przypadku redukcji liczby napadów o $\geq 25\%$, $\geq 75\%$ lub 100% również wykazano przewagę rufinamidu nad placebo, jednak różnice nie były IS. W retrospektywnym badaniu Caraballo 2020 spadek częstości napadów $\geq 50\%$ odnotowano u $64,5\%$ wszystkich pacjentów, w tym u 8/11 (72,7%) chorych z zespołem Westa. W badaniu Oesch 2019 jakkolwiek redukcję napadów po zastosowaniu rufinamidu osiągnięto u $47,5\%$ pacjentów, redukcja napadów o $>50\%$ wystąpiła u 64 (35%), brak redukcji napadów u 27 pacjentów (14,8%), natomiast napady nasiliły się u 5 pacjentów (2,7%).

Przeprowadzone badania kliniczne potwierdziły, że częstość napadów padaczkowych była znacznie mniejsza w grupie pacjentów przyjmujących rufinamid.

Do najczęściej opisywanych działań niepożądanych należały bóle i zawroty głowy, uczucie zmęczenia oraz senności. U pacjentów z zespołem Lennox-Gastaut najczęstsze działania niepożądane obejmowały wymioty i senność. Działania niepożądane zwykle miały nasilenie od łagodnego do umiarkowanego. Najczęstszymi działaniami niepożądanymi stanowiącymi przyczynę przerwania leczenia rufinamidem były wysypka i wymioty.

Nie odnaleziono badań dot. skuteczności i bezpieczeństwa stosowania rufinamidu w zespole Rasmussena.

Problem ekonomiczny

Łączna kwota refundacji leku Inovelon wyniosła odpowiednio w latach: 2012 – 241 390 zł., 2013 – 250 479 zł.; 2014 – 350 463 zł.; 2015 – 271 134 zł., a w latach 2017-2018 – 612 259 zł. W 2021 – 05.2022 wydano zgodę na refundację 972 opakowań Inovelonu (13 opakowań leku w dawce 40 mg/ml, 617 op. 400 mg, 329 op. 200 mg, oraz 13 op. 100 mg) we wskazaniach padaczka lekooporna i zespół Lennox-Gastaut (LGS) na łączną kwotę 569 404,28 zł.

Główne argumenty decyzji

Wyniki badań klinicznych wskazują na skuteczność rufinamidu w zmniejszaniu częstości napadów padaczkowych. Wytyczne kliniczne wskazują na możliwość zastosowania rufinamidu jako leczenia wspomagającego.

Z informacji przekazanych przez Ministra Zdrowia wynika, że liczba wniosków o refundację produktu leczniczego wyniosła 27 dla wskazania padaczka lekooporna i 54 dla wskazania zespół Lennox-Gastaut. Dla wskazania zespół Westa i zespół Rasmussena nie wpłynął żaden wniosek. W kolejnych latach liczba

pacjentów stosujących tę technologię medyczną będzie wzrastać, co za tym idzie obciążenie dla płatnika publicznego może również się zwiększyć.

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.4211.10.2022 (Aneks do opracowania nr: OT.4311.3.2019) „Inovelon (rufinamid) we wskazaniach: padaczka lekooporna, zespół Lennox-Gastaut, zespół Westa, zespół Rasmussena”. Data ukończenia: 3 sierpnia 2022 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 124/2022 z dnia 8 sierpnia 2022 roku

o projekcie programu „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania raka piersi u kobiet zamieszkałych na terenie Gminy Toszek powyżej 25. roku życia”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania raka piersi u kobiet zamieszkałych na terenie Gminy Toszek powyżej 25. roku życia”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady oraz zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

Głównym założeniem projektu programu jest: „ograniczenie zdrowotnych oraz społecznych skutków późnego wykrycia raka piersi u kobiet poprzez zwiększenie wykrywalności raka piersi u kobiet stosunkowo młodych, a zamieszkałych na terenie Gminy Toszek, a tym samym wczesne wprowadzenie leczenia, poprzez zwiększenie dostępu do edukacji zdrowotnej i badań specjalistycznych”.

Populację docelową opiniowanego projektu stanowią kobiety zamieszkujące gminę Toszek w wieku powyżej 25 r.ż. w zakresie działań edukacyjnych oraz 40-49 lat z czynnikami ryzyka w zakresie działań diagnostycznych. Wnioskodawca zaznacza, że liczba zameldowanych mieszkańców gminy Toszek wynosi 8 945 osób, z czego 4 588 (ok. 51,29%) stanowią kobiety. Wskazano, że kobiet w wieku powyżej 25 r.ż. wynosi ok. 3 600, natomiast w wieku 40-49 lat – ok. 660. Dane dot. liczebności zostały zweryfikowane przez analityka i są zbliżone do danych zamieszczonych na stronie internetowej GUS.

Wśród kryteriów kwalifikacji do części edukacyjnej wskazano: płeć żeńską, zamieszkiwanie na terenie gminy Toszek, wiek (powyżej 25 r.ż.) oraz „ogólny stan pozwalający na uczestnictwo w programie”.

Kryteria włączenia do części diagnostycznej to: płeć żeńską, zamieszkiwanie na terenie gminy Toszek, wiek (powyżej 40-49 lat), „ogólny stan pozwalający na uczestnictwo w programie”, występowanie innych okoliczności/czynników ryzyka określonych w ankiecie kwalifikującej do programu oraz brak stwierdzonej choroby raka piersi. Zakres czynników ryzyka obejmuje: czynniki genetyczne (np. stwierdzony nowotwór piersi u co najmniej jednego krewnego pierwszego stopnia »babka, matka, rodzeństwo, dzieci«), czynniki reprodukcyjne



(np. wczesny wiek pierwszej miesiączki, późny wiek pierwszej ciąży itd.), czynniki hormonalne, styl życia oraz poprzednio leczone nowotwory. Ponadto w ankiecie zawarto pytania dot. objawów potencjalnie pozwalających na podejrzenie nowotworu piersi, tj. występowanie dolegliwości lub zmian w obrębie piersi, powiększenie węzłów chłonnych w okresie ostatnich 6 miesięcy oraz częstotliwość przeprowadzania przez pacjentkę samobadania piersi. Nie wskazano jakie wyniki ankiety będą kwalifikowały do udziału w programie. Jej zapisy wskazują, że każdorazowo decyzję o przeprowadzeniu badania i jego rodzaju będzie podejmował lekarz.

W uzasadnieniu opinii należy zaznaczyć, że w tworzeniu referencji bibliograficznych należy opierać się na recenzowanych czasopismach lub stronach internetowych. Należy podkreślić, że populację docelową działań profilaktycznych, ukierunkowanych w głównej mierze na badania przesiewowe, stanowią kobiety w grupie wiekowej 50-69 lat (PTOK 2020, ECIBC 2020, ESMO 2019, ACP 2018, RACGP 2018, SEOM 2014). W przypadku kobiet między 40 a 49 r.ż. zwiększa się ryzyko potencjalnej szkody, która może przewyższać korzyści wynikające z przeprowadzania badań mammograficznych (PTOK 2020, ECIBC 2020, ESMO 2019, ACP 2018, CTHPH 2018, RACGP 2018, USPSTF 2016, SEOM 2014, EUSOMA 2012). Dodatkowo należy podkreślić, że w ramach odnalezionych rekomendacji stwierdza się, że do grupy wysokiego ryzyka przede wszystkim należą kobiety: starsze, z mutacją genów BRCA1/BRCA2, z rodzinnym występowaniem raka piersi, stosujące długotrwałe hormonalną terapię zastępczą i/lub antykoncepcję oraz kobiety, u których miesiączka pojawiła się we wczesnym wieku i/lub menopauza rozpoczęła się w późniejszym okresie życia (NIH 2021, PTOK 2020, PAHO/WHO 2020, ASC 2019, NICE 2019, USPSTF 2019, SEOM 2014, ESMO 2013).

W ocenie Rady Przejrzystości, projekt wymaga dopracowania brzmienia celu głównego programu, którego treść sformułowano w sposób zbyt ogólny, co utrudnia prawidłowy dobór mierników efektywności. Podobnej korekty wymagają również cele szczegółowe.

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.431.47.2022 „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania raka piersi u kobiet zamieszkałych na terenie Gminy Toszek powyżej 25. roku życia” realizowany przez: Gminę Toszek, Warszawa, sierpień 2022 oraz Raportu nr OT.434.2.2021 „Profilaktyka raka piersi” z marca 2021 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

**Opinia Rady Przejrzystości
nr 125/2022 z dnia 8 sierpnia 2022 roku
o projekcie programu „Dofinansowanie do leczenia niepłodności
metodą zapłodnienia pozaustrojowego dla mieszkańców miasta
Rzeszowa na lata 2022-2025”**

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Dofinansowanie do leczenia niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego dla mieszkańców miasta Rzeszowa na lata 2022-2025”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest projekt PPZ przesłany przez miasto Rzeszów w zakresie leczenia niepłodności, zakładający przeprowadzenie procedury zapłodnienia pozaustrojowego. Populację docelową będą stanowić pary, w których wiek kobiety wynosi 20-42 lat, zamieszkujące na terenie miasta Rzeszów, u których stwierdzono niepłodność. Okres realizacji programu został wyznaczony na lata 2022-2025. Koszt całkowity oszacowano na 624 000 zł. Program finansowany będzie ze środków budżetu miasta Rzeszów.

Populację docelową będą stanowić osoby w wieku 20-42 lat. Wnioskodawca oszacował liczbę niepłodnych par w Rzeszowie na około 5 543. Przyjął, że zapotrzebowanie na procedurę zapłodnienia pozaustrojowego dotyczy ok. 2%, czyli ok. 110 par.

Interwencja polegać będzie na procedurze zapłodnienia pozaustrojowego przeprowadzanej w ramach dawstwa partnerskiego.

Wskazał na możliwość przeprowadzenia kriokonserwacji komórek jajowych, jednak zawęził ją do pacjentek przed leczeniem gonadotoksycznym. Natomiast nie zaproponował jej pacjentkom, które nie chciałyby być obciążone przechowywaniem zarodków, co można uznać za główną wadę programu.

Uczestnikom programu przysługiwać będzie możliwość dofinansowania do 3 prób zapłodnienia w wysokości do 5 000 zł każda, nie więcej jednak niż 80% kosztów całej procedury biotechnologicznej.



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.431.48.2022 „Dofinansowanie do leczenia niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego dla mieszkańców Rzeszowa na lata 2022-2025” realizowany przez: Miasto Rzeszów, Warszawa, sierpień 2022 oraz Aneksu „Programy z zakresu diagnostyki i leczenia niepłodności – wspólne podstawy oceny” z czerwca 2022 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 126/2022 z dnia 8 sierpnia 2022 roku

o projekcie programu „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania chorób tarczycy na lata 2023-2025” (m. Leszno)

Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania chorób tarczycy na lata 2023-2025” (m. Leszno).

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest projekt PPZ przesłany przez miasto Leszno, dotyczący wykrywania chorób tarczycy, zakładający prowadzenie badań TSH, FT4 i USG. Kryteria kwalifikacji uczestników do programu obejmują mieszkańców miasta Leszno w wieku >18 lat. Nie oszacowano odsetka populacji docelowej, który będzie mógł wziąć udział w programie, z analizy budżetu wynika, pośrednio, że przy koszcie jednostkowym wynoszącym 250 zł oraz koszcie całkowitym oszacowanym na 60 tys. zł, w programie mogłoby wziąć udział ok. 240 osób rocznie. Okres realizacji programu został wyznaczony na lata 2023-2025. Celem głównym programu jest „zwiększenie wykrywalności chorób tarczycy wśród mieszkańców miasta Leszno w populacji docelowej w okresie trwania programu”. Wnioskodawca zaproponował dwa cele szczegółowe tj.: „wczesne wykrycie schorzeń tarczycy u 20% uczestników programu w trakcie jego trwania” oraz „zwiększenie dostępu do badań mieszkańcom miasta Leszno”.

Odnosząc się do rekomendacji medycznych towarzystw naukowych w zakresie działań proponowanych w projekcie programu, Rada zwraca uwagę na to, że większość tych towarzystw opowiada się przeciwko rutynowym, populacyjnym badaniom przesiewowym w kierunku dysfunkcji tarczycy (FES 2019, NICE 2019, CTFPHC 2019, USPSTF 2018, BTA 2016, AACE/ACE 2016, USPSTF 2015, BSEM 2013 A, BSEM 2013 B). W opinii tych towarzystw, badanie przesiewowe powinno zostać ograniczone do osób z podwyższonym ryzykiem chorób tarczycy, obejmujących takie czynniki ryzyka jak np.: przyjmowanie leków, które mogą wpływać na funkcje tarczycy, wcześniejszą lub trwającą ekspozycją tarczycy na terapię jodem promieniotwórczym lub radioterapię głowy i szyi, choroby przysadki lub podwzgórza, migotanie przedsionków, cukrzycę typu 1 lub typu 2. Również eksperci krajowi opowiedzieli się przeciwko prowadzeniu badań przesiewowych w kierunku wykrycia chorób tarczycy w ramach PPZ



realizowanych przez JST. Stwierdzono, że korzyści płynące z objęcia populacji screeningiem wydają się być nieadekwatne do poniesionych na te badania kosztów. Uznano też, że badania przesiewowe w diagnostyce zmian ogniskowych w tarczycy, w szczególności raka tarczycy, nie tylko nie skutkują poprawą zdrowia populacji, ale wiążą się z niepotrzebnym znaczącym obciążeniem budżetu płatnika. W związku z tym, Rada przyjęła opinię jak wyżej.

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.431.49.2022 „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania chorób tarczycy na lata 2023-2025” realizowany przez: Miasto Leszno, Warszawa, sierpień 2022 oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy z zakresu wykrywania chorób tarczycy – wspólne podstawy oceny” z sierpnia 2021 r.