



BP.401.12.2022.LAn

Protokół nr 11/2022
z posiedzenia Rady Przejrzystości
w dniu 14 marca 2022 roku
w formie wideokonferencji

Piotr Szymański otworzył posiedzenie o godzinie 10:04.

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

1. Anna Gręziak
2. Maciej Karaszewski
3. Michał Myśliwiec
4. Rafał Niżankowski
5. Tomasz Pasierski
6. Jakub Pawlikowski
7. Piotr Szymański
8. Janusz Szyndler
9. Monika Urbaniak

Członkowie Rady nieobecni na posiedzeniu:

1. Barbara Jaworska-Łuczak

Proponowany porządek obrad:

1. Ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej „Badanie metodą Rapid-FISH (szybka fluorescencyjna hybrydyzacja in situ) w diagnostyce prenatalnej wybranych aneuploidii” jako świadczenia gwarantowanego z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej „MLPA (Multiplex ligation-dependent probe amplification, amplifikacja sond zależna od ligacji) w diagnostyce przedurodzeniowej” jako świadczenia gwarantowanego z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Leqvio (inclisiranum) w ramach programu lekowego: B.101 „Leczenie inhibitorami PCSK-9 lub inklisiranem pacjentów z zaburzeniami lipidowymi (ICD-10 E78.01, I21, I22, I25)”.
5. Przygotowanie opinii o projektach programów polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego:
 - 1) „Program polityki zdrowotnej endometrioza, choroba kobiet w każdym wieku pn. »Plan na życie z endometriozą«” (m. Wrocław),



- 2) „Program polityki zdrowotnej w zakresie profilaktyki nadwagi i otyłości wśród dzieci klas III szkół podstawowych w Mieście Lubliniec oraz wśród mieszkańców w wieku 65+ na lata 2022-2026”,
- 3) „Gminny program polityki zdrowotnej w zakresie profilaktyki zakażeń pneumokokowych w Kozach”.
6. Przygotowanie opinii w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną ciclosporinum we wskazaniach: aplazja lub hipoplazja szpiku kostnego; białaczka z dużych granulanych limfocytów T; wybiórcza aplazja układu czerwokrwinkowego; zespół aktywacji makrofagów; zespół hemofagocytowy małopłytkowość oporna na leczenie; zespół mielodysplastyczny – leczenie paliatywne; stan po przeszczepie kończyny, rogówki, tkanek lub komórek.
7. Przygotowanie opinii w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną cyclophosphamidum we wskazaniach: zespół hemofagocytowy; zespół POEMS; małopłytkowość oporna na leczenie kortykosteroidami; anemia hemolityczna oporna na leczenie kortykosteroidami.
8. Przygotowanie opinii w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną sorafenibum we wskazaniu: leczenie nowotworów podścieliska przewodu pokarmowego (GIST) (ICD-10 C15, C16, C17, C18, C20, C48).
9. Przygotowanie opinii w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną danazolium we wskazaniach: małopłytkowość autoimmunizacyjna oporna na leczenie; zespół mielodysplastyczny.
10. Przygotowanie opinii w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną sirolimusum we wskazaniach: stwardnienie guzowate; limfangioleiomiomatoza; nowotwór z epitheloidalnych komórek przynaczyniowych.
11. Przygotowanie opinii w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną valganciclovirum we wskazaniu: zakażenie wirusem cytomegalii u pacjentów poddawanych przeszczepom kończyny, rogówki, szpiku, tkanek lub komórek - profilaktyka po zakończeniu hospitalizacji związanej z transplantacją do 110 dni po przeszczepie – w przypadku udokumentowanych przeciwwskazań do stosowania walgancyklowiru w stałej doustnej postaci farmaceutycznej.
12. Zakończenie posiedzenia.

Ad 1. Piotr Szymański zgłosił konflikt interesów w zakresie pkt. 4. proponowanego porządku obrad, w związku z czym podczas głosowania nad ww. punktem jego głos liczony będzie jako wstrzymujący. Żaden z pozostałych członków Rady nie zadeklarował konfliktu interesów.

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

Rada zdecydowała o wysłuchaniu prezentacji wspólnej dla pkt 2. i 3. porządku obrad.

Ad 2. i 3. Analityk Agencji przedstawił prezentację dot. zakwalifikowania badań metodą Rapid-FISH oraz badania MLPA w diagnostyce przedurodzeniowej jako świadczeń gwarantowanych.

Ad 2. cd. Propozycję stanowiska Rady dot. badania metodą Rapid-FISH przedstawił Jakub Pawlikowski.

W dyskusji Rady udział brali: Tomasz Pasiński, Jakub Pawlikowski, Janusz Szyndler, Piotr Szymański, Monika Urbaniak i Maciej Karaszewski.

Ad 3. cd. Propozycję stanowiska Rady dot. badania MLPA w diagnostyce przedurodzeniowej przedstawił Michał Myśliwiec.

W dyskusji Rady uczestniczyli: Jakub Pawlikowski, Piotr Szymański i Janusz Szyndler.

Ad 2. cd. Po doprecyzowaniu treści uchwały, w czym uczestniczyli: Jakub Pawlikowski, Piotr Szymański, Maciej Karaszewski, Anna Gręziak, Janusz Szyndler i Michał Myśliwiec, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 1 do protokołu).

Ad 3. cd. Po doprecyzowaniu treści uchwały, w czym uczestniczyli: Piotr Szymański i Michał Myśliwiec, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 2 do protokołu).

Rada zdecydowała o zmianie kolejności omawiania tematów – jako kolejny omówiony zostanie pkt 5. porządku obrad.

Ad 5. 1) Analityk Agencji zaprezentował założenia programu polityki zdrowotnej m. Wrocław w zakresie emdometriozy. Głos zabrał Rafał Niżankowski, a propozycję opinii Rady przedstawiła Monika Urbaniak.

Wobec braku głosów w dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 8 głosami „za”, przy 1 głosie „przeciw” (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 3 do protokołu).

2) Analityk Agencji przedstawił informacje o programie polityki zdrowotnej m. Lubliniec dot. profilaktyki nadwagi i otyłości, a propozycję opinii Rady przedstawiła Anna Gręziak.

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

3) Analityk Agencji przedstawił informacje o programie polityki zdrowotnej gm. Kozy dot. profilaktyki zakażeń pneumokokowych, a propozycję opinii Rady przedstawił Piotr Szymański.

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

Rada zdecydowała o dalszej zmianie kolejności omawiania tematów – jako kolejny omówiony zostanie pkt 6. porządku obrad, następnie pkt 7., pkt 8., pkt 9., pkt 10., pkt 11. i pkt 4.

Ad 6. Maciej Karaszewski przedstawił propozycję opinii Rady dot. substancji czynnej ciclosporinum stosowanej w zakresie wielu wskazań pozarejestacyjnych.

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. Rafał Niżankowski omówił propozycję opinii Rady dot. stosowania substancji czynnej cyclophosphamidum w wielu wskazaniach pozarejestacyjnych.

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. Janusz Szyndler przedstawił propozycję opinii Rady dot. substancji czynnej sorafenibum stosowanej w zakresie wskazań pozarejestacyjnych dot. nowotworów podścieliska przewodu pokarmowego GIST.

Po doprecyzowaniu treści uchwały, w czym uczestniczyli: Janusz Szyndler, Piotr Szymański i Michał Myśliwiec, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 8 do protokołu).

Ad 9. Janusz Szyndler przedstawił propozycję opinii Rady dot. substancji czynnej danazolom stosowanej w zakresie wskazań pozarejestacyjnych dot. małopłytkowości autoimmunizacyjnej i zespołu mielodysplastycznego.

Głos zabrali Piotr Szymański i Janusz Szyndler, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 9 do protokołu).

Ad 10. Piotr Szymański przedstawił propozycję opinii Rady dot. substancji czynnej sirolimusum stosowanej w zakresie wielu wskazań pozarejestacyjnych.

Wobec braku głosów w dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 10 do protokołu).

Ad 11. Piotr Szymański przedstawił propozycję opinii Rady dot. substancji czynnej valganciclovirum stosowanej w zakresie wskazań pozarejestacyjnych dot. zakażenie wirusem cytomegalii.

Wobec braku głosów w dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 11 do protokołu).

Ad 4. Analityk Agencji zaprezentował dane o leku Leqvio (wniosek refundacyjny) w ramach programu lekowego dot. pacjentów z zaburzeniami lipidowymi.

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

Propozycję stanowiska Rady przedstawił Tomasz Pasiński, a w dyskusji Rady, w wyniku której doprecyzowano treść uchwały, uczestniczyli: Janusz Szyndler, Tomasz Pasiński, Rafał Niżankowski i Michał Myśliwiec.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 8 głosami „za”, przy 1 głosie wstrzymującym, z uwagi na konflikt interesów (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 12 do protokołu).

Ad 12. Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 12:51.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 21/2022 z dnia 14 marca 2022 roku
w sprawie zasadności kwalifikacji świadczenia opieki zdrowotnej
„Badanie metodą Rapid-FISH (szybka fluorescencyjna hybrydyzacja in situ) w diagnostyce prenatalnej wybranych aneuploidii” jako
świadczenia gwarantowanego

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „Badanie metodą Rapid-FISH (szybka fluorescencyjna hybrydyzacja in situ) w diagnostyce prenatalnej wybranych aneuploidii” jako świadczenia gwarantowanego, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Przedmiotem zlecenia Ministra jest ocena zasadności wyszczególnienia z badań genetycznych, dostępnych w zakresie ambulatoryjnej opieki specjalistycznej (zał. 2 lit. M), badania metodą Rapid-FISH (szybka fluorescencyjna hybrydyzacja in situ), w diagnostyce prenatalnej wybranych aneuploidii i ich finansowania ze środków publicznych.

Rapid-FISH (szybka fluorescencyjna hybrydyzacja in situ) jest testem genetycznym stosowanym m.in. w diagnostyce prenatalnej do szybkiego wykrywania aneuploidii chromosomów 13, 18, 21, X i Y - co jest główną przyczyną skierowań na badania prenatalne. Metoda Rapid-FISH przeprowadzana na komórkach trofoblastu lub płynu owodniowego umożliwia uzyskanie wyniku badania genetycznego w ciągu 2-5 dni, podczas gdy obecnie stosowane standardowo metody hodowli komórkowych wymagają około 3 tygodniowego oczekiwania na wynik. Spodziewanym efektem zakwalifikowania metody Rapid-FISH do wykazu świadczeń gwarantowanych byłoby skrócenie czasu oczekiwania na wynik badania, co wiąże się ze zmniejszeniem stresu u rodziców i, w przypadku potwierdzenia aneuploidii, przyspieszeniem objęcia ciężarnej i dziecka adekwatną opieką zdrowotną.

Aktualnie w rozporządzeniu Ministra Zdrowia w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej (Dz. U. z 2016 r. poz. 357, z późn. zm.), w części „M. Badania genetyczne” załącznika nr 2, określone w pozycji 914 „Cytogenetyczne badania molekularne”, obejmują



analizę FISH – hybrydyzacja *in situ* z wykorzystaniem fluorescencji – do chromosomów metafazowych i prometafazowych oraz do jąder interfazowych z sondami molekularnymi centromerowymi, malującymi, specyficznymi, telomerowymi, Multicolor-FISH. Można byłoby zatem uznać, że w wymienionych badaniach ujęta jest metoda Rapid-FISH (analiza FISH do jąder interfazowych). Należy jednak zaznaczyć, że brak kodów wg klasyfikacji ICD-9 dla badań genetycznych wymienionych w powyższym rozporządzeniu oraz odrębnej klasyfikacji dla poszczególnych metod badań genetycznych, implikuje niejasność w zakresie interpretacji niektórych metod genetycznych (czy są one gwarantowane w danym wskazaniu klinicznym), jak również powoduje trudności w przeprowadzeniu taryfikacji tych świadczeń.

Dowody naukowe

Porównanie wyników badań metodą FISH z metodą kariotypowania w zakresie czułości, swoistości, wyników fałszywie dodatnich i fałszywie ujemnych, wskazuje na porównywalną wartość diagnostyczną obu metod. Oznacza to, że metoda FISH jest czułą i wiarygodną techniką diagnostyki prenatalnej najczęstszych aneuploidii (Jia 2011, Feldman 2000, Thilaganathan 2000) i może potencjalnie zastąpić konwencjonalną analizę cytogenetyczną w rutynowej diagnostyce prenatalnej (Thilaganathan 2000). Niewielkie ryzyko związane jest nie tyle z metodą badań genetycznych, co pobieraniem materiału, tj. w przypadku pobierania próbek kosmówki ryzyko poronienia wynosi 1%, a w przypadku amniopunkcji ryzyko poronienia wynosi 0,5%.

Włączone do analizy wytyczne praktyki klinicznej dotyczące stosowania badań genetycznych w diagnostyce prenatalnej wskazują na to, iż zaleca się wykonywanie testów przesiewowych w kierunku najczęstszych aneuploidii u wszystkich kobiet w pierwszym trymestrze ciąży (ACOG 2020, RANZCOG 2018, SOGC, CCMG 2017), a w przypadku wysokiego ryzyka aberracji chromosomowych pacjentce należy zaoferować poradę genetyczną i badania diagnostyczne w kierunku chorób genetycznych, w tym badanie FISH. W świetle aktualnych wytycznych praktyki klinicznej badania genetyczne metodą Rapid-FISH są uzupełnieniem badania kariotypu w celu szybkiej oceny powszechnych trisomii autosomalnych (chromosomy 21, 18, 13) oraz chromosomów płci. Metoda jest jednym z testów w kierunku aneuploidii (pozostałe wymieniane w wytycznych to np. QF-PCR oraz BACs on beads, całogenomowe badanie porównawczej hybrydyzacji genomowej do mikromacierzy).

Problem ekonomiczny

W badaniu Gekas 2011 wykazano, że szybkie metody inwazyjnej diagnostyki prenatalnej (Rapid-FISH i QF-PCR) przy wykrywaniu zespołu Downa mają lepszy wskaźnik efektywności kosztowej niż standardowe kariotypowanie, niemniej

jednak kariotypowanie wykrywa więcej aberracji chromosomowych niż Rapid-FISH i QF-PCR.

Trudno jest określić czy wydzielenie analizowanych badań spowoduje zwiększenie liczby kobiet kierowanych na inwazyjną diagnostykę prenatalną, a szacunki wahają się od ok. 4,8 mln zł do ok. 19,2 mln zł rocznie, dlatego sugerowane jest rozpoczęcie finansowania od populacji pilotażowej wynoszącej 5 tys. badań rocznie. Wydaje się, że wyszczególnienie tej metody i określenie dla niej adekwatnej taryfy wpłynęłoby na ograniczenie stosowania produktu rozliczeniowego o kodzie: 5.10.00.0000043 Kompleksowa diagnostyka genetycznych chorób nienowotworowych z uwzględnieniem cytogenetycznych badań molekularnych, za pomocą którego obecnie jest finansowane to badanie, a co za tym idzie koszty inkrementalne będą prawdopodobnie niższe.

W ramach przeglądu rozwiązań międzynarodowych odnaleziono informacje dotyczące stosowania badań genetycznych w diagnostyce prenatalnej w 24 krajach. W 22 z analizowanych krajów nie odnaleziono informacji na temat metody Rapid-FISH w diagnostyce prenatalnej i finansowanych ze środków publicznych. Metoda FISH była wymieniona w diagnostyce prenatalnej na liście świadczeń gwarantowanych na Litwie, a na Słowacji diagnostyka prenatalna obejmuje m.in. Rapid-FISH w badaniach przesiewowych w kierunku aneuploidii chromosomowej.

Główne argumenty decyzji

Szybkie metody diagnostyki prenatalnej inwazyjnej, w tym metoda Rapid-FISH, wykazują wiarygodność diagnostyczną w przypadku podejrzenia aneuploidii, są efektywne kosztowo i pozwalają na uzyskanie wyniku w o wiele krótszym czasie (ok. 2 dni) w porównaniu z klasycznym kariotypowaniem (ok. 21 dni), dlatego powinny być stosowane w przypadkach, gdy nie jest konieczna długotrwała analiza kariotypu. Dzięki temu możliwe byłoby skrócenie czasu oczekiwania na wynik badania, co wiązałoby się ze zmniejszeniem stresu u rodziców, a w przypadku potwierdzenia aneuploidii, przyspieszeniem objęcia ciężarnej i dziecka adekwatną opieką zdrowotną.

Uwagi Rady

- 1. Rada proponuje refundację w ramach programu pilotażowego, obejmującego ok 5 tys. uczestników.*
- 2. Należy dążyć do taryfikacji we wszystkich wskazaniach skutecznych metod genetycznych, jak całogenomowe badanie porównawczej hybrydyzacji genomowej do mikromacierzy oraz QF-PCR i Digital PCR.*

3. Należy zadbać o rozwój systemu nadzoru nad jakością badań genetycznych oraz regulacji prawnych w zakresie ochrony danych genetycznych.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31c ust. 6 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.), z uwzględnieniem opracowania nr: WS.430.4.2018 „Badanie genetyczne metodą MLPA (Multiplex ligation-dependent probe amplification, amplifikacja sond zależna od ligacji) w diagnostyce przedurodzeniowej; Badanie genetyczne metodą Rapid-FISH (szybka fluorescencyjna hybrydyzacja in situ) w diagnostyce prenatalnej wybranych aneuploidii”, data ukończenia: 9 marca 2022 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 22/2022 z dnia 14 marca 2022 roku
w sprawie zasadności kwalifikacji świadczenia opieki zdrowotnej
„MLPA (Multiplex ligation-dependent probe amplification,
amplifikacja sond zależna od ligacji) w diagnostyce
przedurodzeniowej” jako świadczenia gwarantowanego

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „MLPA (Multiplex ligation-dependent probe amplification, amplifikacja sond zależna od ligacji) w diagnostyce przedurodzeniowej” jako świadczenia gwarantowanego, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Badanie genetyczne metodą MLPA w diagnostyce prenatalnej polega na zastosowaniu komercyjnych sond, które są amplifikowane metodą PCR. Metoda pozwala na ilościową ocenę wielu sekwencji nukleotydowych, w celu ustalenia rozpoznania wielu chorób genetycznych. Zaletą metody jest możliwość przeprowadzenia badania bez skomplikowanej aparatury i otrzymanie wyniku w ciągu 24 godzin. Wykrywanie delecji czy duplikacji fragmentów genów, szczególnie tych obejmujących całe egzony, nie jest zwykle możliwe z zastosowaniem techniki PCR czy sekwencjonowania, ze względu na wielkość badanych zmian. W odróżnieniu od metody FISH, MAPA pozwala, na badanie bardzo krótkich sekwencji (50-70 nt), co umożliwia wykrycie częstych aberracji obejmujących pojedynczy gen. Są one zbyt małe, aby można było je wykryć metodą FISH. Inne techniki badań umożliwiają skryning całego genomu, ale wymagają zastosowania specjalistycznego sprzętu, wysoko wykwalifikowanego personelu, trwają 14-21 dni i są kosztowne. Obecnie można kupić kilkaset zestawów sond, przeznaczonych do rozpoznania dość częstych chorób (dystrofia mięśniowa Duchenne, zespół DiGeorge, SMA i innych).

W ramach istniejącego w Polsce Programu Badań Prenatalnych, prowadzone są badania przesiewowe m.in. w kierunku najczęstszych aneuploidii (chromosomów 13, 18 i 21). Każdy nieprawidłowy wynik badania przesiewowego wskazujący na zwiększone ryzyko wystąpienia aneuploidii jest wskazaniem medycznym do wykonania inwazyjnej diagnostyki prenatalnej, celem



weryfikacji wyniku. Zgodnie z informacjami z Karty Świadczenia Opieki Zdrowotnej (KŚOZ) rutynowo stosowaną metodą diagnostyczną jest analiza chromosomów (badanie cytogenetyczne, inaczej analiza kariotypu). Pozwala ona na ocenę wszystkich chromosomów pod kątem zmian liczby i dużych zmian strukturalnych. Analiza chromosomów wymaga najpierw prowadzenia hodowli komórkowej, która w przypadku komórek trofoblastu i amniocytów trwa ok. 14-21 dni. Częstość występowania liczbowych aberracji chromosomowych (w większości aneuploidii) sięga nawet 5%. Aneuploidie mogą dotyczyć wszystkich chromosomów, jednak u żywo urodzonych dzieci stwierdzone są prawie wyłącznie trisomie chromosomów 13, 18, 21, X, Y oraz monosomia chromosomu X. Średnie ryzyko populacyjne urodzenia dziecka z trisomią 21 wynosi 1:800, trisomią 18 -1:6000, trisomią 13 -1:10000, trisomią chromosomów płci 1:500, monosomią chromosomu X 1:2500 dziewczynek. Obecnie w Polsce metoda MLPA nie jest refundowana, ale może być uwzględniona jako „inne badanie genetyczne” w ramach istniejącego „Programu badań prenatalnych”. Może być też finansowana jako świadczenie kontraktowane oddzielnie.

Dowody naukowe

Do analizy włączono łącznie 10 jednoramiennych badań pierwotnych z lat 2003-2013, odnoszących się do zastosowania badania za pomocą MLPA w diagnostyce prenatalnej. We wszystkich badaniach testem referencyjnym było kariotypowanie.

Najwyższy odsetek wyników fałszywie dodatnich wyniósł 0,2% (Hochstenbach 2005), a najniższy 0% (Bocian 2011, Yurdakul 2010, Slater 2003). Bezwzględna czułość badania wynosiła 97 do 100%. Swoistość wynosiła 99,8 do 100%.

Odnaleziono 7 wytycznych praktyki klinicznej: 2 polskie i 5 zagranicznych, (z zagranicznych uwzględniono tylko opublikowane po 2016 r). Zalecają one wykonywanie testów przesiewowych w kierunku najczęstszych aneuploidii u wszystkich kobiet w pierwszym trymestrze ciąży (ACOG 2020, RANZCOG 2018, SOGC, CCMG 2017). Wstępnie wykonuje się badania nieinwazyjne (NIPT, ang. Non Invasive Prenatal Testing), obejmujące:–połączone badanie przesiewowe z pomiarami przezierności karku (USG) i stężenia białka osocza A (PAPP-A) związanego z ciążą oraz ludzkiej beta gonadotropiny kosmówkowej (βHCG),–badanie przesiewowe oparte na bezkomórkowym DNA (cfDNA, wolne płodowe DNA). Wg wytycznych polskich (PTG, PTGC 2017):badania genetyczne wykonane na wolnym płodowym DNA (NIPT) należy zaproponować kobietom ciężarnym, jeśli ich ryzyko, wyliczone na podstawie wyniku badania przesiewowego I trymestru ciąży, wynosi między 1:100 a 1:1000. Badania diagnostyczne obejmują wykonanie celowanej diagnostyki genetycznej, polegającej na analizie materiału genetycznego z komórek płodu pobranych metodą inwazyjną (amniopunkcja/biopsja trofoblastu/kordocenteza) pod kontrolą USG.

Odnalezione wytyczne nie wskazują bezpośrednio na możliwość stosowania metody MLPA w diagnostyce prenatalnej, ale może ona być uwzględniona w szerszej grupie badań diagnostycznych, wskazywanych przez wytyczne np. jako ocena molekularnego DNA lub cytogenetyczne badania molekularne.

Alternatywnymi technologiami medycznymi w diagnostyce prenatalnej aneuploidii u płodu są m.in.: kariotypowanie, standardowe badanie FISH; badanie aCGH; i inne. Obecnie istotnym trendem jest wykorzystywanie do wykrywania aneuploidii i innych zmian genetycznych u płodu również nieinwazyjnych prenatalnych testów genetycznych, w skrócie NIPT. Polegają one na przesiewowym badaniu we krwi matki wolnego płodowego DNA (ang. cell free fetal DNA, cffDNA).

Badanie inwazyjne (pobieranie próbek kosmówki) może wiązać się z ryzykiem poronienia (1%). W przypadku amniopunkcji, podczas której pobiera się próbkę płynu owodniowego, ryzyko poronienia wynosi 0,5%.

Problem ekonomiczny

Według oszacowań przedstawionych w KŚOZ, wstępne skutki dla budżetu NFZ w przypadku finansowania badania MLPA i badania Rapid-FISH oszacowano w dwóch wariantach. W pierwszym wariantcie, w zestawieniu z całkowitą liczbą dzieci urodzonych w 2016 r. (382 tys.) za populację minimalną przyjęto 20 tys. kobiet w ciąży rocznie (20 tys. dzieci rodzi się rocznie z chorobą genetyczną). Drugi wariant oszacowania przeprowadzono dla populacji pilotażowej wynoszącej 5 tys. Koszt badania metodą MPLA przyjęto na poziomie 649,39 zł. Koszt finansowania prenatalnych badań genetycznych metodą MLPA szacowany jest na poziomie od ok. 3,3 mln zł do ok. 13,0 mln zł rocznie, w zależności od liczebności populacji, tj. odpowiednio 5 tys. osób i 20 tys. osób. W przypadku rozpoczęcia finansowania od populacji pilotażowej, wynoszącej 5 tys. badań rocznie, koszt roczny nie powinien przekroczyć 3,3 mln zł.

Główne argumenty decyzji

Metoda MLPA pozwala na szybką inwazyjną diagnostykę prenatalną i ma prawie 100% czułość i specyficzność i nie jest finansowana w Polsce. Metoda jest bardzo przydatna, bo nie wymaga skomplikowanej aparatury, a wynik otrzymuje się nawet w ciągu 24 godz. Służy do badania bardzo krótkich sekwencji nukleotydowych, które są zbyt małe do wykrycia metodą FISH.

Uwagi Rady

1. Rada proponuje refundację w ramach programu pilotażowego, obejmującego ok 5 tys. uczestników.

2. *Należy dążyć do taryfikacji we wszystkich wskazaniach skutecznych metod genetycznych, jak całogenomowe badanie porównawczej hybrydyzacji genomowej do mikromacierzy oraz QF-PCR i Digital PCR.*
3. *Należy zadbać o rozwój systemu nadzoru nad jakością badań genetycznych oraz regulacji prawnych w zakresie ochrony danych genetycznych.*

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31c ust. 6 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.), z uwzględnieniem opracowania nr: WS.430.4.2018 „Badanie genetyczne metodą MLPA (Multiplex ligation-dependent probe amplification, amplifikacja sond zależna od ligacji) w diagnostyce przedurodzeniowej; Badanie genetyczne metodą Rapid-FISH (szybka fluorescencyjna hybrydyzacja in situ) w diagnostyce prenatalnej wybranych aneuploidii”, data ukończenia: 9 marca 2022 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 38/2022 z dnia 14 marca 2022 roku

o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej endometrioza, choroba kobiet w każdym wieku pn. »Plan na życie z endometriozą«”
(miasto Wrocław)

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej endometrioza, choroba kobiet w każdym wieku pn. »Plan na życie z endometriozą«” (miasto Wrocław), pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

Przedstawiony projekt programu polityki zdrowotnej dotyczy ważnej kwestii, jaką jest poprawa jakości życia u kobiet z endometriozą. Program ma być realizowany na terenie miasta Wrocławia w okresie maj-grudzień 2022. Program skierowany jest do mieszkanek Wrocławia.

Wnioskodawca jako cel główny programu wskazał uzyskanie poprawy jakości życia u mieszkanek Wrocławia - kobiet z endometriozą. Założeniem programu jest rozszerzenie dostępu kobiet chorych na endometriozę do specjalistycznej edukacji zdrowotnej z zakresu diagnostyki, kompleksowego leczenia endometriozy oraz do wsparcia psychologicznego, a także dzięki edukacji personelu medycznego zaangażowanego w opiekę nad pacjentkami z endometriozą. W ramach programu wnioskodawca zaproponował 5 celów szczegółowych tj.: (1) „wzrost poziomu wiedzy pracowników medycznych w zakresie kompleksowej opieki nad kobietami z endometriozą poprzez prowadzenie szkoleń”, (2) „wzrost poziomu wiedzy kobiet na temat etiopatogenezy, objawów, powikłań, diagnostyki i leczenia endometriozy poprzez prowadzenie szkoleń, konsultacji specjalistycznych, strony internetowej programu, zamieszczanie postów na fanpage'u”, (3) „poprawę samopoczucia fizycznego kobiet, odbiorców programu poprzez udzielanie konsultacji dietetyka, rehabilitanta i anestezjologa”, (4) „poprawę funkcjonowania psychicznego kobiet, odbiorców programu poprzez wsparcie psychologiczne, w tym – udział w konsultacjach z psychologiem, grupie wsparcia oraz w mediach społecznościowych”, (5) „poprawę w codziennym funkcjonowaniu kobiet z endometriozą, poprzez udział w konsultacjach specjalistycznych, szkoleniach



oraz wdrożenie planu postępowania w chorobie, przygotowanego we współpracy z zespołem specjalistów”.

Wnioskodawca określił, że program skierowany będzie do kobiet ze zdiagnozowaną endometriozą, z symptomami m.in. bólowymi sugerującymi endometriozę, bądź do kobiet z niepłodnością, u których zachodzi podejrzenie endometriozy.

Wnioskodawca założył, że w pilotażu programu indywidualną edukacją zdrowotną prowadzoną przez specjalistów zostanie objętych około 100 kobiet z nasilonymi objawami endometriozy, dla których zostanie opracowany „Plan na życie z endometriozą”. Z edukacji specjalistycznej on-line skorzysta ok. 3 500 osób. Wnioskodawca nie uzasadnił szacunków dot. liczby kobiet korzystających z edukacji online. Program zakłada również działania szkoleniowe skierowane do lekarzy podstawowej opieki zdrowotnej, lekarzy w trakcie specjalizacji, specjalistów oraz położnych. Wnioskodawca w ramach programu planuje ponadto przeprowadzenie 4 szkoleń dla personelu medycznego, w których udział weźmie do 100 uczestników.

Wnioskodawca określił następujące kryteria kwalifikacji do udziału w programie polityki zdrowotnej w zakresie kompleksowej opieki specjalistów: wiek (kobiety w wieku reprodukcyjnym) zdiagnozowaną endometriozę; brak zdiagnozowanej endometriozy przy jednoczesnych objawach choroby, potwierdzonych we wstępnym wywiadzie; niepłodność z jednoczesnym podejrzeniem endometriozy. Przed przystąpieniem do udziału w programie konieczne będzie również wyrażenie pisemnej zgody przez pacjentkę.

Ze szkoleń dla personelu medycznego będą mogli skorzystać: lekarze podstawowej opieki zdrowotnej; lekarze w trakcie specjalizacji, a także specjaliści w dziedzinie położnictwa i ginekologii, urologii, chirurgii, chorób wewnętrznych, medycyny rodzinnej, endokrynologii, anestezjologii; studenci psychologii oraz psychologowie; położne, pielęgniarki, studenci kierunków medycznych (lekarskiego, pielęgniarskiego).

Wnioskodawca nie określił kryteriów wyłączenia z programu.

W projekcie programu zaplanowano kwalifikację do programu, szkolenia personelu medycznego oraz działania edukacyjne dla uczestniczek, wraz z szeregiem konsultacji specjalistycznych.

Odnalezione dowody kliniczne i wytyczne potwierdzają zasadność kwalifikacji uczestniczek na podstawie rozmowy. Z kolei istniejące narzędzia mają ograniczoną użyteczność kliniczną i nie nadają się do takiego przesiewu, głównie ze względu na ich stopień rozbudowania, złożoną punktację, wymagane badania dodatkowe lub nieodpowiednią walidację. (Surrey 2017). Badania przesiewowe w kierunku endometriozy w populacji ogólnej nie są zalecane (CNGOF/HAS 2017).

Zaplanowane przez Wnioskodawcę interwencje zgodne się z odnalezionymi wytycznymi. Wytyczne te wskazują, że świadczenia środowiskowe, ginekologiczne i specjalistyczne z zakresu endometriozy (ośrodki endometriozy) powinny zapewniać skoordynowaną opiekę nad osobami z podejrzeniem lub potwierdzoną endometriozą. Należy indywidualnie oceniać potrzeby informacyjne i wsparcie kobiet z podejrzeniem lub potwierdzoną endometriozą (RANZCOG 2021, NICE 2017). Wytyczne zalecają, aby klinicyści omawiali niemedyczne strategie mające na celu poprawę jakości życia i dobrostanu psychicznego kobiet zmagających się z objawami endometriozy. (ESHRE 2022). Kobiety z endometriozą wymagają zindywidualizowanej opieki przez długi okres, w której priorytety mogą ulec zmianie ze względu na rodzaj i nasilenie objawów, obecne lub przyszłe oczekiwania kobiet dotyczące płodności oraz czynniki związane ze stylem życia (WES 2013). Zgodnie z pozyskanymi opiniami ekspertów prowadzenie działań edukacyjnych dla kobiet chorych na endometriozę w ramach programów polityki zdrowotnej jest w pełni uzasadnione.

Wnioskodawca wskazał, że w przypadku wycofania zgody pacjentki na udział w programie zostanie ona poinformowana o możliwość kontynuacji opieki w ramach świadczeń NFZ. Po zakończeniu Programu przekazana zostanie przez koordynatora merytorycznego Programu pisemna informacja lekarzowi POZ dotycząca m.in. zaleceń w celu włączenia kobiety do dalszego postępowania w ramach NFZ dopuszcza zakończenie programu na każdym jego etapie na życzenie uczestnika. Po zakończeniu szkolenia uczestnik otrzyma zaświadczenie o udziale w szkoleniu.

Ocena zgłaszalności do programu prowadzona będzie poprzez analizę liczby kobiet zgłaszających się do programu oraz liczby uczestniczek, które nie zrezygnowały z programu. Będzie ona monitorowana poprzez dostęp do baz danych programu lub dokumentacji medycznej, prowadzonych przez realizatora programu. Dokonane zostanie porównanie liczby kobiet, którym udzielono świadczeń w ramach programu w stosunku do populacji do niego się kwalifikującej. Monitorowanie programu będzie dokumentowane, m.in. poprzez tworzenie raportów okresowych obejmujących sprawozdania z aktualnie realizowanych działań. W projekcie programu zaplanowano przeprowadzenie ankiety satysfakcji, która zostanie przekazana wszystkim uczestnikom programu. Jednakże wzór ankiety nie został załączony do projektu programu, zatem nie była możliwa weryfikacja jego treści. Analizie będą podlegały również pisemne uwagi zgłaszane przez uczestników do realizatora.

Koszt kampanii informacyjno-edukacyjnej wyniesie 5 000 zł, z kolei koszt naboru do programu wyniesie 25 400 zł, koszt edukacji zdrowotnej kobiet z endometriozą wyniesie 114 200 zł (w tym: edukacja online: 25 600 zł i edukacja w ramach programu „Plan na życie z endometriozą”: 88 600 zł), a koszty administracyjne

i inne wyniosą 11 000 zł. Planowane koszty całkowite zostały określone przez Wnioskodawcę na kwotę 170 000 zł.

Źródło finansowania: Miasto Wrocław.

Realizacja programu polityki zdrowotnej rozszerzy dostęp kobiet chorych na endometriozę do specjalistycznej edukacji zdrowotnej z zakresu diagnostyki, jej kompleksowego leczenia oraz do wsparcia psychologicznego.

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.431.7.2022 „Program polityki zdrowotnej endometrioza, choroba kobiet w każdym wieku pn. »Plan na życie z endometriozą«”, data ukończenia: marzec 2022 oraz Aneksu do raportów szczegółowych „Opieka nad kobietami chorymi na endometriozę” z marca 2022 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 39/2022 z dnia 14 marca 2022 roku
o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej w zakresie profilaktyki nadwagi i otyłości wśród dzieci klas III szkół podstawowych w Mieście Lubliniec oraz wśród mieszkańców w wieku 65+ na lata 2022-2026”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej w zakresie profilaktyki nadwagi i otyłości wśród dzieci klas III szkół podstawowych w Mieście Lubliniec oraz wśród mieszkańców w wieku 65+ na lata 2022-2026”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

Projekt programu dotyczy istotnego problemu zdrowotnego jakim jest nadwaga oraz otyłość wśród dzieci i osób starszych. W programie wzięto pod uwagę zarówno czynniki ryzyka, jak i powikłania otyłości, a także negatywne skutki otyłości w wieku podeszłym. Problem nadwagi i otyłości dotyczy ogółem ok. 12-14% dzieci w Polsce. Otyłość w wieku starszym (powyżej 60 r.ż.) dotyczy w Polsce ok. 21% populacji, w tym 21,8% kobiet oraz 22,9% mężczyzn. Na fakt zwiększania się w polskim społeczeństwie odsetków nadwagi i otyłości, niebagatelny wpływ ma trwająca obecnie pandemia COVID-19.

Głównym założeniem programu jest zmniejszenie o 5 punktów procentowych częstości występowania nadwagi i otyłości wśród zakwalifikowanych do programu dzieci oraz wśród osób powyżej 65 r.ż.

Populację docelową stanowią będą dzieci w wieku 9 lat, uczęszczające do szkół podstawowych z terenu Gminy Lubliniec, ich rodzice/opiekunowie prawni, a także osoby powyżej 65 r.ż. zamieszkujące Gminę Lubliniec. Liczba mieszkańców Lublińca powyżej 65 r.ż. wynosi 4 435 osób, w tym 2 665 kobiet oraz 1 770 mężczyzn; natomiast liczba dzieci 9-letnich wynosi ok. 200 rocznie.

Do programu zostaną corocznie włączone wszystkie 9-letnie dzieci uczęszczające do szkół podstawowych, prowadzonych przez Gminę Lubliniec oraz, ze względu na ograniczone środki finansowe, około 100 osób w wieku powyżej 65 r.ż. Łącznie w czasie trwania 5-letniego programu będzie to 1 198 dzieci oraz 500 osób powyżej 65 r.ż.



W celu wyłonienia populacji zagrożonej nadwagą i otyłością zostanie przeprowadzone badanie przesiewowe całej populacji dzieci klas III, uczęszczających do szkół na terenie Miasta Lublińca. Nadwaga lub otyłość będzie diagnozowana na podstawie wskaźnika masy ciała BMI w oparciu o siatki centylowe. Dla nadwagi jest to wartość BMI w granicach 90-97 centyla, natomiast dla otyłości będzie to powyżej 97 centyla.

W populacji osób powyżej 65 r.ż. również zaplanowano przeprowadzenie badania przesiewowego w oparciu o pomiary antropometryczne. Nadwaga lub otyłość będzie diagnozowana na podstawie wskaźnika masy ciała BMI. BMI w granicach 25-29,9 oznaczać będzie nadwagę, 30-34,99 – I stopień otyłości, 35-39,99 – II stopień otyłości, natomiast wskaźnik powyżej 40 – otyłość skrajną (olbrzymią).

W ramach interwencji zaplanowano działania informacyjno-edukacyjne, działania kwalifikacyjne i diagnostyczne oraz działania terapeutyczne tj. interwencje multikomponentowe, w tym: konsultacje dietetyczne, konsultacje psychologiczne, konsultacje ze specjalistą aktywności ruchowej, działania edukacyjne, a także pomiary antropometryczne. O kwalifikacji do etapu interwencji multikomponentowej decydować będzie wynik pomiarów antropometrycznych.

Na podstawie odnalezionych dowodów (APA 2018, MQIC 2018b, ES 2017, USPSTF 2017, AAFP 2017) zaleca się realizację interwencji multikomponentowych, mających na celu redukcję masy ciała i wypracowanie odpowiednich nawyków (m.in. żywieniowych i w zakresie aktywności fizycznej), które umożliwią utrzymanie uzyskanych rezultatów. Interwencje te powinny obejmować w sumie minimum 26 godzin kontaktowych. Zaproponowane w PPZ działania zapewniają zalecane przez USPSTF godziny kontaktowe (26).

Z budżetu programu wynika, że interwencją multikomponentową zostanie objęte ok. 16,5% dzieci, tj. w 2022 r. – 39 os., 2023 r. – 36 os., 2024 r. – 38 os., 2025 r. – 38 os., 2026 r. – 45 os. oraz ok. 21% osób w wieku powyżej 65 r.ż., tj. 21 osób w każdym roku realizacji PPZ. Łącznie w czasie trwania 5-letniego programu interwencją multikomponentową zostanie objęte 196 dzieci oraz 105 osób powyżej 65 r.ż. Działania ukierunkowane na zapobieganie nadmiernemu przyrostowi masy ciała, poprawę diety oraz poziomu aktywności fizycznej u dzieci i młodzieży powinny aktywnie angażować ich rodziców oraz opiekunów (ES 2017, MoH NZ 2016, NICE 2015a, NICE 2015b). Liczba rodziców została przez autorów programu oszacowana na dwukrotną liczbę dzieci, tj. 2 396 osób.

Zaplanowane przez wnioskodawcę interwencje (działania edukacyjne, konsultacje dietetyczne, konsultacje psychologiczne, konsultacje ze specjalistą aktywności ruchowej) są zgodne z większością odnalezionych wytycznych (NICE 2016, PTDiets 2015, EASO 2015, NHMRC 2013, AHA/ACC/TOS 2013).

Wytyczne zalecają łączne stosowanie strategii zmiany stylu życia, takich jak: zwiększenie aktywności fizycznej, poprawę nawyków żywieniowych, jakości diety, redukcję przyjętej energii.

Budżet programu nie zakłada podwójnego finansowania świadczeń gwarantowanych, finansowanych przez NFZ.

Kompleksowa ocena stanu zdrowia dzieci obejmująca m.in. ocenę rozwoju fizycznego, w tym pomiary wysokości i masy ciała wraz z określeniem współczynnika masy ciała (BMI) znajduje się bowiem w wykazie świadczeń gwarantowanych z zakresu podstawowej opieki zdrowotnej i zgodnie z rozporządzeniem Ministra Zdrowia, powinna być przeprowadzana u dzieci w ramach testów przesiewowych wykonywanych przez pielęgniarki lub higienistki szkolne. Pomiary antropometryczne są rutynowo przeprowadzane w ramach bilansów zdrowia dziecka w wieku: przedszkolnym oraz w klasach III, V, VII szkoły podstawowej, I oraz ostatniej klasy szkoły ponadgimnazjalnej do ukończenia 19 r.ż.

Koszt jednostkowy udziału w programie dziecka - 1 230 zł, w tym: 500 zł – koszt poradnictwa dietetycznego z przykładowym jadłospisem (10 wizyt x 50 zł), 400 zł – koszt poradnictwa psychologicznego (8 wizyt x 50 zł), 320 zł – koszt poradnictwa w zakresie aktywności ruchowej (8 wizyt x 40 zł), 10 zł – koszt pomiarów antropometrycznych (pół roku i rok po zakończeniu programu – 2 x 5 zł). Koszt jednostkowy udziału w programie osoby powyżej 65 r.ż. - 1 310 zł – w tym: 5 zł – koszt pomiarów antropometrycznych przed programem. 500 zł – koszt poradnictwa dietetycznego z przykładowym jadłospisem (10 wizyt x 50 zł), 400 zł – koszt poradnictwa psychologicznego (8 wizyt x 50 zł), 400 zł – koszt poradnictwa w zakresie aktywności ruchowej (8 wizyt x 50 zł), 10 zł – koszt pomiarów antropometrycznych (pół roku i rok po zakończeniu programu – 2 x 5 zł). 5 000 zł – koszt akcji informacyjno-edukacyjnej, 1 000 zł – koszt ewaluacji i monitorowania. Koszty całkowite programu: 438 755 zł. Źródło finansowania: miasto Lubliniec.

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.431.8.2022 „Program polityki zdrowotnej w zakresie profilaktyki nadwagi i otyłości wśród dzieci klas III szkół podstawowych w Mieście Lubliniec oraz wśród mieszkańców w wieku 65+ na lata 2022-2026”, data ukończenia: marzec 2022 oraz raportu nr: OT.423.2.2018 „Profilaktyka nadwagi oraz otyłości wśród dzieci i młodzieży w ramach programów polityki zdrowotnej” z kwietnia 2019 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 40/2022 z dnia 14 marca 2022 roku
o projekcie programu „Gminny program polityki zdrowotnej w
zakresie profilaktyki zakażeń pneumokokowych w Kozach”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Gminny program polityki zdrowotnej w zakresie profilaktyki zakażeń pneumokokowych w Kozach”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest projekt programu polityki zdrowotnej zaplanowany do realizacji przez gminę Kozy, zakładający przeprowadzenie szczepień przeciwko pneumokokom oraz działań edukacyjnych wśród osób w wieku powyżej 65 r.ż. Program ma być realizowany w 2022 roku.

*Celem głównym programu jest „zmniejszenie ryzyka zachorowania na choroby wywoływane przez *S. pneumoniae* (w tym na inwazyjną chorobę pneumokokową) w populacji osób powyżej 65 r.ż., objętych programem (tj. 90 osób), zamieszkałych na terenie Gminy Kozy poprzez przeprowadzenie szczepień przeciwko pneumokokom w 2022 roku”. Programem ma zostać objętych 90 osób, co stanowi ok. 3,8% populacji docelowej (liczba mieszkańców gminy powyżej 65 r.ż. wynosi 2 395 osób). W programie wskazano, że osoby spełniające kryteria włączenia będą szczepione przeciwko pneumokokom szczepionką 13-walentną (PCV13). Schemat szczepienia i sposób ich realizacji zgodne będą z aktualną ChPL produktu leczniczego. Szczepienie przeciw zakażeniom pneumokokowym każdorazowo zostanie poprzedzone kwalifikacją lekarską i przeprowadzone po uzyskaniu zgody uczestnika programu na jego realizację. Uczestnicy programu będą poinformowani przez lekarza kwalifikującego do szczepienia o możliwych odczynach poszczepiennych, sposobie postępowania oraz miejscu, gdzie można się zgłosić w razie ewentualnych działań niepożądanych. Proponowane postępowanie jest zgodne z rekomendacjami międzynarodowych towarzystw naukowych - szczepienia przeciwko pneumokokom zalecane są w ogólnej populacji osób starszych. Dolna granica wiekowa różni się w zależności od organizacji wydającej zalecenia (≥50 r.ż.).*



Edukacja bezpośrednia będzie realizowana poprzez rozmowę z lekarzem i pielęgniarką obejmująca m. in. zasadność szczepienia, informacje o możliwych skutkach ubocznych szczepienia oraz informacje o szczepieniach uzupełniających. Edukacja pośrednia będzie oparta o ulotki informacyjne, plakaty i inne zaplanowane do wykorzystania materiały. Akcja informacyjna będzie skierowana przede wszystkim do osób w wieku 65+ poprzez przekazanie materiałów informacyjnych do środowiska lekarzy POZ, klubów seniora oraz stowarzyszeń działających na terenie gminy.

W projekcie programu przedstawiono koszty jednostkowe, koszty całkowite oraz źródła finansowania. Planowane koszty całkowite zostały oszacowane na 28 000 zł. Program finansowany ma zostać sfinansowany z budżetu gminy Kozy oraz innych źródeł.

Zastrzeżenia analityczne budzi ocena efektywności programu. W jej ramach wnioskodawca wskazuje, że skuteczność programu zostanie oceniona na podstawie wskazanych mierników efektywności, jednak jego autorzy przedstawili tylko jeden prawidłowo sformułowany wskaźnik tj. „odsetek uczestników programu, u których nastąpił wzrost wiedzy na temat roli szczepień w profilaktyce chorób zakaźnych”. Przeprowadzenie oceny efektywności podjętych działań będzie zatem trudne. Ewaluacja programu powinna opierać się 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.431.9.2022 „Gminny program polityki zdrowotnej w zakresie profilaktyki zakażeń pneumokokowych w Kozach”, data ukończenia: marzec 2022 oraz Aneksu do raportów szczegółowych „Szczepienia przeciwko pneumokokom wśród osób starszych – wspólne podstawy oceny” z grudnia 2018 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 41/2022 z dnia 14 marca 2022 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną ciclosporinum 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 ciclosporinum we wskazaniach pozarejestacyjnych: aplazja lub hipoplazja szpiku kostnego; białaczka z dużych granularnych limfocytów T; wybiórcza aplazja układu czerwonokrwinkowego; zespół aktywacji makrofagów; zespół hemofagocytowy małopłytkowość oporna na leczenie; zespół mielodysplastyczny – leczenie paliatywne; stan po przeszczepie kończyny, rogówki, tkanek lub komórek.

Uzasadnienie

Opinia dotyczy substancji czynnej cyklosporyna we wskazaniach innych niż określone w CHPL:

- *aplazja lub hipoplazja szpiku kostnego;*
- *białaczka z dużych granularnych limfocytów T;*
- *wybiórcza aplazja układu czerwonokrwinkowego;*
- *zespół aktywacji makrofagów;*
- *zespół hemofagocytowy;*
- *małopłytkowość oporna na leczenie;*
- *zespół mielodysplastyczny – leczenie paliatywne;*
- *stan po przeszczepie kończyny, rogówki, tkanek lub komórek.*

Rada Przejrzystości wydała w roku 2019 pozytywną opinię (nr 115/2019) dotyczącą refundacji cyklosporyny w powyższych wskazaniach.

Wyniki wybranych badań i wytycznych klinicznych opublikowanych po dacie wydania poprzedniej opinii potwierdzają skuteczność cyklosporyny we wnioskowanych wskazaniach. Wyjątkiem jest stosowanie cyklosporyny we wskazaniu zespół hemofagocytowy spowodowany zakażeniem, w którym jej



zastosowanie w stosunku do dożylnych immunoglobulin zwiększa śmiertelność. Nie wykazano takiej zależności w zespole hemofagocytowym z innych przyczyn.

Główne argumenty decyzji

Odnalezione badania naukowe i wytyczne kliniczne wskazują na skuteczność i bezpieczeństwo stosowania cyklosporyny w ocenianych wskazaniach.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 523), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 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.4220.11.2022 „Cyklosporyna we wskazaniach: aplazja lub hipoplazja szpiku kostnego; białaczka z dużych granularnych limfocytów T; wybiórcza aplazja układu czerwonekrwinkowego; zespół aktywacji makrofagów; zespół hemofagocytowy małopłytkowość oporna na leczenie; zespół mielodysplastyczny – leczenie paliatywne; stan po przeszczepie kończyny, rogówki, tkanek lub komórek”, data ukończenia: 11 marzec 2022 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 42/2022 z dnia 14 marca 2022 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną
cyclophosphamidum 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 cyclophosphamidum we wskazaniach pozarejestacyjnych: zespół hemofagocytowy; zespół POEMS; małopłytkowość oporna na leczenie kortykosteroidami; anemia hemolityczna oporna na leczenie kortykosteroidami.

Uzasadnienie

Na podstawie raportu OT.4321.11.2019 Rada Przejrzystości w roku 2019 uznała za (opinia nr 105) zasadne finansowanie ze środków publicznych stosowania leków zawierających cyklofosfamid we wskazaniach:

- *zespół hemofagocytowy;*
- *zespół POEMS;*
- *małopłytkowość oporna na leczenie kortykosteroidami;*
- *anemia hemolityczna oporna na leczenie kortykosteroidami,*

to jest innych wskazaniach, niż ujęte w charakterystyce produktu leczniczego cyklofosfamid.

Aktualnie przeprowadzony przez Agencję przegląd literatury naukowej dotyczącej stosowania cyklofosfamidu, która ukazała się od czasu wydania poprzedniej opinii, nie daje podstaw do rewizji decyzji Rady z 2019 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 2021 r., poz. 523), 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.4220.12.2022 „Cyklofosfamid we wskazaniach: zespół hemofagocytowy; zespół POEMS;



małopłytkowość oporna na leczenie kortykosteroidami; anemia hemolityczna oporna na leczenie kortykosteroidami”, data ukończenia: 10 marzec 2022 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 43/2022 z dnia 14 marca 2022 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną sorafenibum 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 sorafenibum we wskazaniu pozarejestacyjnym: leczenie nowotworów podścieliska przewodu pokarmowego (GIST) (ICD-10 C15, C16, C17, C18, C20, C48).

Uzasadnienie

Sorafenib jest lekiem należącym do grupy inhibitorów wielokinazowych, stosowanym między innymi w leczeniu raka wątrobowokomórkowego, nerkowokomórkowego i raka tarczycy. Sorafenib w ramach wskazań pozarejestacyjnych może być stosowany w leczeniu nowotworów GIST (program lekowy). W roku 2019 Rada Przejrzystości wydała pozytywną rekomendację dla stosowania sorafenibu we wnioskowanym wskazaniu.

Dodatkowe dowody dotyczące efektywności i bezpieczeństwa sorafenibu w leczeniu nowotworów GIST, od czasu wydania poprzedniej pozytywnej rekomendacji, pochodzą z badania Brzozowska 2019. W badaniu oceniano przeżycie całkowite (OS) wśród pacjentów leczonych w ramach programu lekowego. Mediana OS wśród 137 pacjentów z nowotworami GIST leczonych sorafenibem wyniosła 16,9 miesiąca (95%CI:3,7; 24,3). Prawdopodobieństwo 12-miesięcznego przeżycia wyniosło 61,9%, 24-miesięcznego przeżycia 36,2%, a 36-miesięcznego przeżycia 16,8%. Uzyskane wyniki leczenia były porównywalne z wynikami badań klinicznych oceniających sorafenib w zbliżonych wskazaniach.

Wytyczne kliniczne PTOK 2019, NCCN 2022 wskazują na możliwość zastosowania sorafenibu u chorych z nowotworami GIST, u których pomimo leczenia pierwszoliniowego, w tym imatynibem i sunitynibem, doszło do progresji choroby.

Podsumowując, od dnia wydania poprzedniej opinii w roku 2019 nie pojawiły się nowe dowody naukowe, uzasadniające zmianę poprzedniej pozytywnej opinii



Rady (106/2019), dotyczącej finansowania sorafenibu w leczeniu nowotworów podścieliska przewodu pokarmowego (GIST).

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 523), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 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.4220.13.2022 „Sorafenib we wskazaniu: leczenie nowotworów podścieliska przewodu pokarmowego (GIST) (ICD-10 C15, C16, C17, C18, C20, C48)”, data ukończenia: 09.03.2022 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 44/2022 z dnia 14 marca 2022 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną danazol 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 danazol we wskazaniach pozarejestacyjnych: małopłytkowość autoimmunizacyjna oporna na leczenie; zespół mielodysplastyczny.

Uzasadnienie

Danazol jest lekiem zarejestrowanym w leczeniu endometriozy i dysplazji włóknisto-torbielowatej. W Polsce danazol oprócz wyżej wymienionych wskazań jest także finansowany we wskazaniach pozarejestacyjnych tj małopłytkowości autoimmunizacyjnej odpornej na leczenie i zespole mielodysplastycznym.

Przedmiotem wniosku jest ocena zasadności kontynuowania finansowania we wskazaniach pozarejestacyjnych. Poprzednia opinia Rady przejrzystości dotycząca danazolu została wydana w roku 2019.

Dowody naukowe, które uzasadniają stosowanie danazolu w leczeniu małopłytkowości autoimmunizacyjnej odpornej na leczenie i zespole mielodysplastycznym są ograniczone. W wytycznych klinicznych dotyczących leczenia małopłytkowości autoimmunizacyjnej, ASH 2019 wymienia się danazol jako opcję terapeutyczną. Z kolei w wytycznych ESMO 2020 wskazuje się na androgeny jako opcję w leczeniu małopłytkowości w przebiegu zespołu mielodysplastycznego. W poprzedniej opinii Rady wytyczne opracowane przez grupę roboczą z Niemiec, Austrii i Szwajcarii wskazywały na możliwość stosowania danazolu w III linii leczenia. Nie zidentyfikowano publikacji dokumentujących efektywność leku u pacjentów z małopłytkowością autoimmunizacyjną oporną na leczenie izespołem mielodysplastycznym, które ukazały się od czasu wydania poprzedniej opinii.

Podsumowując, nie odnaleziono danych klinicznych, które uzasadniałyby zmianę pozytywnej opinii Rady Przejrzystości nr 108 z roku 2019, dotyczącej stosowania



danazolu w leczeniu małopłytkowości autoimmunizacyjnej odpornej na leczenie oraz zespołu mielodysplastycznego.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 523), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 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.4220.14.2022 „danazol we wskazaniach: małopłytkowość autoimmunizacyjna oporna na leczenie; zespół mielodysplastyczny”, data ukończenia: 10 marca 2022 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 45/2022 z dnia 14 marca 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 wskazaniach pozarejestacyjnych: stwardnienie guzowate; limfangioleiomiomatoza; nowotwór z epithelioidnych komórek przynaczyniowych.

Uzasadnienie

Opinia Rady Przejrzystości nr 109 z roku 2019, dotycząca stosowania sirolimusu we wnioskowanych wskazaniach, była pozytywna. W aktualizowanym opracowaniu AOTMiT, brak jest nowych dowodów naukowych, które mogłyby wpłynąć na zmianę wnioskowania. Lek wymieniany jest w międzynarodowych wytycznych. Uwzględniając powyższe Rada uznaje za zasadne kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną sirolimusum we wskazaniach: stwardnienie guzowate; limfangioleiomiomatoza; nowotwór z epithelioidnych komórek przynaczyniowych.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 523), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 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.4220.5.2022 „sirolimusum we wskazaniach: stwardnienie guzowate; limfangioleiomiomatoza; nowotwór z epithelioidnych komórek przynaczyniowych”, data ukończenia: 10.03.2022 r.





Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 46/2022 z dnia 14 marca 2022 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną valganciclovirum 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 valganciclovirum we wskazaniu pozarejestacyjnym: zakażenie wirusem cytomegalii u pacjentów poddawanych przeszczepom kończyny, rogówki, szpiku, tkanek lub komórek - profilaktyka po zakończeniu hospitalizacji związanej z transplantacją do 110 dni po przeszczepie – w przypadku udokumentowanych przeciwwskazań do stosowania walgancyklowiru w stałej doustnej postaci farmaceutycznej.

Uzasadnienie

Opinia Rady Przejrzystości nr 96 z roku 2019, dotycząca stosowania walgancyklowiru we wnioskowanych wskazaniach, była pozytywna. W aktualizowanym opracowaniu AOTMiT, brak jest nowych dowodów naukowych które mogłyby wpłynąć na zmianę wnioskowania. Lek wymieniany jest w międzynarodowych wytycznych. Uwzględniając powyższe Rada uznaje za zasadne kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną walgancyklowir we wskazaniach: zakażenie wirusem cytomegalii u pacjentów poddawanych przeszczepom kończyny, rogówki, szpiku, tkanek lub komórek - profilaktyka po zakończeniu hospitalizacji związanej z transplantacją do 110 dni po przeszczepie – w przypadku udokumentowanych przeciwwskazań do stosowania walgancyklowiru w stałej doustnej postaci farmaceutycznej.

Uwaga Rady

Ze względu na możliwe poważne działania niepożądane walgancyklowiru, Rada zwraca uwagę na możliwe większe bezpieczeństwo stosowania letermowiru



w profilaktyce CMV (wskazane również w wytycznych NICE 2019 jak i ASTCT 2021).

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 523), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 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.4220.9.2022 „Walgancyklowir we wskazaniach: zakażenie wirusem cytomegalii u pacjentów poddawanych przeszczepom kończyny, rogówki, szpiku, tkanek lub komórek - profilaktyka po zakończeniu hospitalizacji związanej z transplantacją do 110 dni po przeszczepie – w przypadku udokumentowanych przeciwwskazań do stosowania walgancyklowiru w stałej doustnej postaci farmaceutycznej”, data ukończenia: 10 marzec 2022 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 23/2022 z dnia 14 marca 2022 roku

w sprawie oceny leku Leqvio (inclisiranum) w ramach programu lekowego „Leczenie inhibitorami PCSK-9 lub inklisiranem pacjentów z zaburzeniami lipidowymi (ICD-10 E78.01, I21, I22, I25)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Leqvio (inclisiranum), roztwór do wstrzykiwań w ampułko-strzykawce, 284 mg/1,5 ml, 1, amp.-strzyk. 1,5 ml, kod GTIN 07613421047276, w ramach programu lekowego „Leczenie inhibitorami PCSK-9 lub inklisiranem pacjentów z zaburzeniami lipidowymi (ICD-10 E78.01, I21, I22, I25)”, w ramach wspólnej grupy limitowej z inhibitorami PCSK9 i wydawanie go bezpłatnie.

Rada Przejrzystości uważa

Rada nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Przedmiotowy wniosek dotyczy włączenia do refundacji produktu leczniczego Leqvio w ramach programu lekowego B.101 „Leczenie inhibitorami PCSK-9 lub inklisiranem pacjentów z zaburzeniami lipidowymi (ICD-10 E78.01, I21, I22, I25)”, we wskazaniu wynikającym ze złożonego wniosku i treści uzgodnionego programu lekowego. Program ten miałby stanowić rozszerzenie aktualnego programu lekowego, polegające na dodaniu inklisiranu do możliwych do stosowania terapii, a także możliwości leczenia chorych nietolerujących statyn oraz z rozpoznaniem zawału mięśnia sercowego w ciągu ostatnich 24 miesięcy. W tak zdefiniowanej populacji docelowej finansowane są już inhibitory PCSK-9: alirokumab i ewolokumab.

Dowody naukowe

Wysokiej jakości dowody naukowe, w tym randomizowane próby kliniczne wskazują na skuteczność inklisiranu u pacjentów z rodzinną hipercholesterolemią oraz w subpopulacji pacjentów z wysokim ryzykiem sercowo-naczyniowym w obniżaniu poziomu cholesterolu LDL. Dotychczas nie potwierdzono jednak



wpływu inklisiranu na śmiertelność sercowo-naczyniową i całkowitą. Nie zidentyfikowano badań bezpośrednio porównujących wnioskowaną technologię z komparatorami, tj. alirokumabem i ewolokumabem, oraz badań oceniających skuteczność praktyczną ocenianej technologii medycznej.

Problem ekonomiczny

W analizie minimalizacji kosztów, koszt stosowania produktu leczniczego Leqvio w hipercholesterolemii rodzinnej okazał się,

U chorych z wysokim ryzykiem sercowo-naczyniowym koszt stosowania produktu leczniczego Leqvio okazał się

Główne argumenty decyzji

Porównywalna skuteczność w porównaniu do alirokumabu i ewolokumabu uzasadnia opinię pozytywną, pod warunkiem zastosowania mechanizmu RSS zapewniającego

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 523), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 1285 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OT.4231.64.2021 „Wniosek o objęcie refundacją leku Leqvio (inklisiran) w ramach programu lekowego B.101 »Leczenie inhibitorami PCSK-9 lub inklisiranem pacjentów z zaburzeniami lipidowymi (ICD-10 E78.01, I21, I22, I25)«”, data ukończenia: 03.03.2022 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia eksperta przedstawiona w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone kolorem żółtym stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy Novartis Poland Sp. z o.o.

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem 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: Novartis Poland Sp. z o.o..