



BP.401.8.2023.AG

**Protokół nr 8/2023
z posiedzenia Rady Przejrzystości
w dniu 20 lutego 2023 roku
w formie wideokonferencji**

Tomasz Pasierski otworzył posiedzenie o godzinie 10:05

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

1. Anna Gręziak
2. Marcin Kołakowski
3. Adam Maciejczyk
4. Tomasz Pasierski
5. Tomasz Romańczyk
6. Rafał Suwiński
7. Anetta Undas
8. Monika Urbaniak

Członkowie Rady nieobecni na posiedzeniu:

1. Maciej Karaszewski

Proponowany porządek obrad:

1. Ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności wprowadzenia zmian w „Programie badań prenatalnych”.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Saphnelo (anifrolumabum) w ramach programu lekowego „Leczenie chorych z aktywną postacią toczenia rumieniowatego układuowego (TRU, SLE) (ICD 10: M32)”.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Glypviso (vildagliptinum) we wskazaniu: leczenie cukrzycy typu II.
5. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Keytruda (pembrolizumabum) w ramach programu lekowego „Leczenie uzupełniające pacjentów z rakiem nerki (ICD-10 C64)”.
6. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności objęcia refundacją leku Renastart we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek u pacjentów pediatrycznych powyżej 2 roku życia.
7. Przygotowanie opinii o projektach programów polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego:
 - 1) „Program wczesnego wykrywania nowotworów jelita grubego wśród mieszkańców gminy Pszczyna na lata 2023-2027”,
 - 2) „Program profilaktyki cukrzycy typu 2 dla mieszkańców Pszczyny w wieku 45-65 lat na lata 2023-2027”.
8. Zakończenie posiedzenia.

Ad 1. Tomasz Pasierski i Rafał Suwiński zgłosili konflikt interesów w zakresie pkt. 5 porządku obrad, w związku z powyższym podczas głosowania ich głosy liczone będą jako wstrzymujące. Żaden z pozostałych członków Rady nie zadeklarował konfliktu interesów.

Rada jednogłośnie (8 głosów „za”) przyjęła zaproponowany porządek obrad.

Ad 2. Analityk Agencji streścił raport dot. oceny zasadności wprowadzenia zmian w „Programie badań prenatalnych”.

Projekt opinii Rady przedstawił Tomasz Pasierski.

W dyskusji głos zabrali: Tomasz Pasierski, Tomasz Romańczyk, Anna Gręziak, Anetta Undas oraz Rafał Suwiński, po czym Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (8 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 1 do protokołu).

Ad 3. Analityk Agencji omówił najważniejsze informacje z raportu w sprawie leku Saphnelo (wniosek refundacyjny) w ramach programu lekowego dot. leczenia chorych z aktywną postacią tocznia rumieniowatego układowego (TRU, SLE) (ICD 10: M32).

Projekt stanowiska Rady przedstawiła Anetta Undas.

W dyskusji głos zabrali: Tomasz Pasierski i Anetta Undas.

W związku z brakiem innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (8 głosów „za”) uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 2 do protokołu).

Ad 4. Analityk Agencji podsumował najważniejsze informacje z raportu w sprawie leku Glypivilo (wniosek refundacyjny) we wskazaniu: leczenia cukrzycy typu II. Projekt opinii Rady przedstawił Rafał Suwiński.

W dyskusji głos zabrali Rafał Suwiński i Tomasz Pasierski. W związku z brakiem innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (8 głosów „za”) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 3 do protokołu).

Ad 5. Analityk Agencji streścił raport w sprawie leku Keytruda (wniosek refundacyjny) w ramach programu lekowego dot. leczenia uzupełniającego pacjentów z rakiem nerki (ICD-10 C64”).

We wstępnej dyskusji głos zabrali: Tomasz Pasierski i Rafał Suwiński.

Projekt stanowiska Rady przedstawił Adam Maciejczyk.

W dalszej części dyskusji głos zabrali:

W związku z brakiem innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (6 głosów „za”, przy 2 głosach wstrzymujących z uwagi na zgłoszone konflikty interesów) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 4 do protokołu).

Ad 6. Analityk Agencji zaprezentował podsumowanie informacji z raportu dot. leku Renastart we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek u pacjentów pediatrycznych powyżej 2 roku życia.

Projekt stanowiska Rady przedstawił Marcin Kołakowski.

W dyskusji głos zabrali: Marcin Kołakowski, Anetta Undas, Tomasz Pasierski i Anna Gręziak. W związku z brakiem innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada (7 głosów „za” i 1 „przeciw”) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 5 do protokołu).

Ad 7. 1) Analityk Agencji omówił program polityki zdrowotnej gminy Pszczyna na lata 2023-2027 z zakresu wczesnego wykrywania nowotworów jelita grubego wśród mieszkańców.

Projekty opinii Rady przedstawił Tomasz Romańczyk.

W dyskusji głos zabrali: Rafał Suwiński, Tomasz Romańczyk i Tomasz Pasierski.

W związku z brakiem innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (8 głosów „za”) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 6 do protokołu).

2) Analityk Agencji omówił program polityki zdrowotnej dot. profilaktyki cukrzycy typu 2 dla mieszkańców Pszczyny w wieku 45-65 lat na lata 2023-2027.

Projekty opinii Rady przedstawiła Monika Urbaniak.

W dyskusji głos zabrali: Tomasz Pasierski i Monika Urbaniak.

W związku z brakiem innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (8 głosów „za”) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 7 do protokołu).

Ad 8. Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 13:25.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 17/2023 z dnia 20 lutego 2023 roku
w sprawie zasadności wprowadzenia zmian
w „Programie badań prenatalnych”

Rada Przejrzystości uważa za zasadne wprowadzenia zmian w „Programie badań prenatalnych”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Konsultanci krajowi z perinatologii i ginekologii zaproponowali następujące zmiany w zakresie obecnie funkcjonującego programu badań prenatalnych:

- 1. zniesienie kryterium wieku w zakresie kryteriów kwalifikacji do programu,*
- 2. dodanie badania wolnego DNA płodowego (cffDNA) jako uzupełnienia algorytmu diagnostyki wad genetycznych w grupach podwyższonego ryzyka wystąpienia wad genetycznych (1:50-1:1000),*
- 3. dodanie badania łożyskowego czynnika wzrostu (PIGF) jako uzupełnienia algorytmu określania ryzyka wystąpienia preeklampsji (PE, stan przedrzucawkowy), w pierwszym etapie u pacjentek z grupy podwyższonego ryzyka wystąpienia preeklampsji, docelowo w całej populacji kobiet ciężarnych.*

Dowody naukowe

Wszystkie proponowane zmiany są uzasadnione naukowo.

Ad 1. Wszystkie odnalezione wytyczne zalecają poinformowanie kobiety ciężarnej o możliwości wykonania badań prenatalnych i zaoferowanie ich niezależnie od jej wieku.

Ad 2. Wyniki metaanalizy (Rose 2022) wskazują na: wysoką trafność badania cffDNA jako testu przesiewowego w kierunku trisomii (T21, T18 i T13) zarówno w przypadku ciąż pojedynczych jak i bliźniaczych oraz aneuploidii chromosomów płciowych (czułość wykrycia trisomii dla ciąż pojedynczych od 98,8% do 100%, dla ciąż mnogich od 80% do 98,2%, przy swoistości ponad 99,9%.

Wytyczne wskazują, iż badanie cffDNA jest uznawane za skuteczniejsze niż test złożony i powinno być oferowane wszystkim ciężarnym. Jednak JKMS wskazuje na pierwszeństwo jego wykonania u kobiet z grup wysokiego ryzyka.

Wytyczne SOGC-CCMG oraz Polskie podkreślają wartość badania w celu wykrycia aneuploidii i innych wybranych aberracji chromosomowych jednak niewystarczające dowody naukowe na ich skuteczność w wykrywaniu mikrodelecji.

Ad 3. Wyniki przeglądu Agrawal 2019 wskazują, że dla całej populacji skumulowana czułość oznaczenia PIGF wyniosła 61%, a swoistość 85%. W przypadku wczesnej postaci preeklampsji badania wykazują większą czułość (czułość 71%, swoistość 88%) niż w przypadku późnej (czułość 45%, swoistość 89%, przy swoistości odpowiednio 82% i 80%).

Wyniki badania Tan2018 wskazały, iż dodanie PIGF do algorytmu diagnostyki ryzyka wystąpienia preeklampsji opierającego się o oznaczenia średniego ciśnienia tętniczego krwi (MAP) i badania dopplerowskiego tętnic macicznych (UtA-PI) w populacji 61 174 włączonych do badania pozwoliło na:

- wykrycie u pacjentek z wczesną postacią (PE<37 tygodnia) dodatkowo 24 przypadków prawdziwie dodatnich, u których można włączyć terapię profilaktyczną kwasem acetylosalicylowym (wzrost odsetka wykrytych preeklampsji - DR z 98 na 104),
- zmniejszenie o 706 liczby przypadków fałszywie dodatnich, u których można uniknąć wdrażania terapii profilaktycznej (spadek FPR z 7042 do 6354).

Problem ekonomiczny

AD 1+2. Koszty inkrementalne zniesienia kryterium wieku z dodaniem badania cffDNA (d-a) oszacowano na 143 466 029 zł.

Ad 3. Jeżeli za liczbę pacjentek kwalifikujących się do badania PIGF przyjęto całą populację pacjentek ciężarnych tj. 358 621 koszty dodania badania PIGF wynoszą 71 724 200 zł.

Główne argumenty decyzji

- Udokumentowana naukowo skuteczność.
- Rozwiązania przyjęte w większości krajów europejskich.
- Akceptowalne koszty.

Uwagi Rady

Rada uważa, że test PIGF powinien być ograniczony do grup zwiększonego ryzyka stanu przedrzucawkowego.

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 2022 r., poz. 2561 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania nr: WS.4220.25.2022 „Analiza zasadności wprowadzenia propozycji zmian w zakresie programu badań prenatalnych”, data ukończenia: 17 lutego 2023 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 18/2023 z dnia 20 lutego 2023 roku
w sprawie oceny leku Saphnelo (anifrolumabum) w ramach programu
lekowego „Leczenie chorych z aktywną postacią toczenia
rumieniowatego układuowego (TRU, SLE) (ICD 10: M32)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Saphnelo, anifrolumabum, koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 300 mg, 1 fiol. 2 ml, kod EAN: 05000456072700, w ramach programu lekowego „Leczenie chorych z aktywną postacią toczenia rumieniowatego układuowego (TRU, SLE) (ICD 10: M32)”

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Toczeń rumieniowaty układuowy (SLE) jest częstą chorobą autoimmunologiczną rozwijającą się najczęściej u kobiet w młodym i średnim wieku, prowadząc do wielonarządowych powikłań u ok. 50% pacjentów, w tym zagrażających życiu takich jak schyłkowa niewydolność nerek u 10-20%, zakażenia, oraz trzykrotnie większego ryzyka zgonu w porównaniu z populacją ogólną. Większość pacjentów wymaga przewlekłego stosowania leków immunosupresyjnych często w połączeniu z kortykosteroidami, co prowadzi do wielu działań niepożądanych pogarszających jakość życia chorych na SLE.

Anifrolumab (Saphnelo) jest ludzkim przeciwciałem monoklonalnym klasy IgG1 przeciwko podjednostki 1 receptora interferonu typu I, blokując aktywność tych receptorów i nasilając ich internalizację, co w konsekwencji prowadzi do zahamowania reakcji zapalnej oraz autoimmunologicznej poprzez m.in. zahamowanie powstawania plazmocytów i przywrócenie równowagi subpopulacji komórek T. Lek został dopuszczony do obrotu w lutym 2022 roku we wskazaniu: „leczenie uzupełniające u dorosłych pacjentów z aktywnym, seropozytywnym toczeniem rumieniowatym układuowym (ang. systemic lupus erythematosus, SLE) o postaci umiarkowanej do ciężkiej, pomimo stosowania standardowego leczenia”. Anifrolumab (Saphnelo) nie był dotąd oceniany w AOTMiT.

Dostępne wytyczne EULAR/ACR i innych towarzystw naukowych, wszystkie opublikowane przed 2022 rokiem, nie wymieniają wnioskowanej technologii.

Poza kortykosteroidami w monoterapii lub w połączeniu z lekami antymalarycznymi, w aktywnym SLE w postaci umiarkowanej lub ciężkiej powinno się stosować wg zaleceń EULAR 2019 mykofenolan mofetylu lub cyklofosfamid lub inhibitory kalcyneuryny (cyklosporynę i takrolimus). Zgodnie z aktualnymi rekomendacjami EULAR/ACR 2 leki biologiczne tj. rytuksymab i belimumab są zalecane w tych postaciach SLE, a w Polsce obie te technologie dostępne są jedynie w ramach dostępu ratunkowego do technologii medycznych (podobnie jak tocilizumab).

Obecnie finansowane ze środków publicznych w Polsce we wskazaniu ICD-10: M32 są w ramach refundacji aptecznej (on-label) chlorochina, prednizon, prednizolon, metyloprednizolon, azatiopryna, oraz w ramach refundacji aptecznej (off-label): metotreksat, mykofenolan mofetylu, cyklofosfamid, cyklosporyna.

Nie uzyskano opinii ekspertów klinicznych na temat objęcia refundacją anifrolumabu w omawianym wskazaniu.

Dowody naukowe

Skuteczność i bezpieczeństwo anifrolumabu u chorych z aktywnym SLE wykazano w wielośrodkowych badaniach RCT: MUSE (faza IIb, n=201; porównanie z placebo dawki 300 lub 1000 mg podawanej dożylnie co 4 tygodnie przez 48 tygodnie), TULIP-1 (faza III, n=364; porównanie 2:1:2 z placebo dawki 150 lub 300 mg anifrolumabu podawanej dożylnie co 4 tygodnie przez 48 tygodnie) i TULIP-2 (faza III, n= 262; porównanie 1:1 z placebo dawki 300 mg anifrolumabu podawanej dożylnie co 4 tygodnie przez 48 tygodnie), a także TULIP-LN1 dotyczącym chorych z aktywną nefropatią toczniową (bez różnicy w efekcie klinicznym stosowania anifrolumabu w porównaniu z placebo).

Dostępne są wyniki 3 przeglądów systematycznych zakończonych metaanalizami dotyczącymi skuteczności i bezpieczeństwa anifrolumabu w leczeniu SLE w tym badania Lee 2021 i Koh 2020 (metaanalizy 3 badań RCT: MUSE, TULIP-1 i 2). Dostępne dane udokumentowały związane z stosowaniem anifrolumabu znamienne statystycznie zmniejszenie ryzyka wystąpienia przynajmniej jednego lub dwóch zaostrzeń SLE, prawdopodobieństwa redukcji dawki kortykosteroidów, oraz liczby bolesnych lub obrzękniętych stawów w okresie 52 tygodni obserwacji, a także poprawę zmęczenia ocenianego w skali FACIT-F oraz jakości życia. Używając różne skale oceny odpowiedzi na leczeniu chorych z SLE, wykazano, że anifrolumab pozwala uzyskać odpowiedź na leczenie wg kryteriów SRI7 i SRI8, podczas gdy nie obserwowano podobnej różnicy między anifrolumab i placebo analizując odpowiedzi wg kryteriów SRI4, SRI5 i SRI6. Ponadto w meta-analizie wykazano, że anifrolumab wiąże się z większym prawdopodobieństwem odpowiedzi BICLA, r oraz $\geq 50\%$ redukcji w skali CLASI, ale nie osiągnięto redukcji punktów w skali SLEDAI o ≥ 4 , którą uznaje się za istotną

klinicznie w aktywnym SLE. Metaanaliza 2 badań (TULIP-1 i TULIP-2) wykazała IS większą szansę wystąpienia w grupie ANI vs. PLC: redukcji wyniku w skali SLEDAI o ≥ 4 pkt. (OR=1,60 (95% CI: 1,19; 2,15)),

Ze względu na zaplanowaną długość obserwacji w badaniach RCT nad anifrolumabem w aktywnym SLE nie oceniano przeżycia całkowitego.

Działania niepożądane anifrolumabu występowały częściej niż u chorych otrzymujących placebo, ale przy podobnym ryzyku poważnych działań niepożądanych i tych zakończonych zgonem. Stwierdzono większe prawdopodobieństwo wystąpienia półpaśca (3-4 krotnie większe ryzyko) i zakażeń górnych dróg oddechowych u leczonych anifrolumabem w badaniach RCT. Najczęstszym poważnym powikłaniem stosowania anifrolumabu w dostępnym piśmiennictwie jest półpasiec występujący średnio po 139 dniach od rozpoczęcia terapii. Specjalne zastrzeżenia dotyczące stosowania anifrolumabu obejmują możliwość wystąpienia poważnych reakcji uczuleniowych, w tym obrzęku naczynioruchowego, niezalecanie stosowania tego leku wraz z innymi lekami biologicznymi i stosowania żywych lub atenuowanych szczepionek oraz niepewne dane co do ryzyka rozwoju nowotworu.

Problem ekonomiczny

Szacuje się, że w Polsce na SLE choruje około 17 tysięcy osób, ale grupa spełniająca kryteria wejścia do ocenianego programu lekowego wynosi ok. 200 chorych w 1. roku, choć oszacowanie wielkości grupy chorych, w których może być stosowana oceniana technologia jest niepewne. Według ChPL anifrolumab podawany jest w dawce 300 mg co 4 tygodnie i w razie zadawalającego efektu klinicznego terapia powinna być kontynuowana przewlekle.

Analiza ekonomiczna wskazuje, że stosowanie wnioskowanej technologii w tej populacji chorych z SLE w porównaniu z standardowym leczeniem jest droższe i skuteczniejsze. Oszacowany ICUR z perspektywy NFZ znajduje się powyżej progu opłacalności. Wnioskodawca nie zaproponował instrumentu dzielenia ryzyka. Uwzględnienie możliwości ponownego wejścia pacjenta do programu lekowego może zwiększyć koszt stosowania tej technologii. Objęcie refundacją ocenianej technologii lekowej wiąże się z dodatkowymi kosztami z perspektywy NFZ. Lek nie jest refundowany w państwach Unii Europejskiej o podobnym do Polski PKB.

Główne argumenty decyzji

Anifrolumab stosowany u chorych z aktywnym seropozytywnym SLE jako uzupełnienie standardowego leczenia jest skuteczniejszy w porównaniu z terapią opartą na kortykosteroidach i lekach immunosupresyjnych. Terapia anifrolumabem jest jednak znacznie droższa, a jej długoterminowe efekty są niepewne. Inne obecnie zalecane przez towarzystwa naukowe terapie

u chorych z umiarkowanym lub ciężkim SLE takie jak rituksymab i belimumab nie są obecnie w Polsce refundowane poza programem ratunkowego dostępu do technologii medycznych.

Uwagi Rady

Rada sugeruje objęcie refundacją w ramach jednego programu lekowego leków biologicznych u chorych z ciężkim aktywnym SLE, w tym leku belimumab (Benlysta), posiadającego pozytywną rekomendację Prezesa AOTMiT (nr 82/2013), a którego dodanie zaleca się zgodnie z wytycznymi EULARu z 2019 roku u pacjentów z niewystarczającą odpowiedzią na leczenie standardowe (1a/A).

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. 2555 z późn. zm.), 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 2022 r., poz. 2561 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OT.4231.64.2022 „Wniosek o objęcie refundacją leku Saphnelo (anifrolumab) w ramach programu lekowego: »Leczenie chorych z aktywną postacią tocznia rumieniowatego układuowego (TRU, SLE) (ICD-10: M32)«”, data ukończenia: 9 lutego 2023 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 19/2023 z dnia 20 lutego 2023 roku
w sprawie oceny leku Glypviso (vildagliptinum) we wskazaniu:
leczenie cukrzycy typu II

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Glypviso (vildagliptinum) 50 mg, tabletki, 60 tabl., kod GTIN: 05909991372385, we wskazaniu: do stosowania jako uzupełnienie diety i ćwiczeń fizycznych w celu poprawy kontroli glikemii u osób dorosłych z cukrzycą typu 2:

- *w monoterapii u pacjentów, u których metformina jest nieodpowiednia z powodu występowania przeciwwskazań lub nietolerancji,*
- *w skojarzeniu z innymi produktami leczniczymi stosowanymi w leczeniu cukrzycy, w tym z insuliny, gdy produkty te nie zapewniają wystarczającej kontroli glikemii,*

jako leku dostępnego w aptece na receptę, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie go za odpłatnością 30%.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Minister Zdrowia zlecił przygotowanie analizy weryfikacyjnej AOTMiT, stanowiska Rady Przejrzystości oraz rekomendacji Prezesa AOTMiT na zasadzie art. 35 ust. 1 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia oraz wyrobów medycznych w przedmiocie objęcia refundacją produktu leczniczego Glypviso (vildagliptyna) 50 mg, tabletki, 60 tabl., kod GTIN: 05909991372385 w aptece na receptę w całym zakresie zarejestrowanych wskazań i przeznaczeń. Zgodnie z ChPL vildagliptyna jest wskazana do stosowania jako uzupełnienie diety i ćwiczeń fizycznych w celu poprawy kontroli glikemii u osób dorosłych z cukrzycą typu 2:

- *w monoterapii u pacjentów, u których metformina jest nieodpowiednia z powodu występowania przeciwwskazań lub nietolerancji.*
- *w skojarzeniu z innymi produktami leczniczymi stosowanymi w leczeniu cukrzycy, w tym z insuliny, gdy produkty te nie zapewniają wystarczającej kontroli glikemii*

Lek jest aktualnie refundowany jako produkt wydawany z apteki na podstawie recepty za odpłatnością 30% w skojarzeniu z metforminą: cukrzyca typu 2 u pacjentów u których zastosowanie metforminy w maksymalnie tolerowanej dawce w monoterapii nie pozwala osiągnąć dobrej kontroli glikemii, wartość HbA1c > 7% (przez co najmniej 3 miesiące). Aktualny wniosek obejmuje, zatem, rozszerzenie zakresu wskazań refundacyjnych.

Dowody naukowe

Lekami aktualnie finansowanymi ze środków publicznych w Polsce, mogącymi stanowić komparator dla wildagliptyny są metformina, acarbose, glukagon, gliclazid, glimepirid, glipizid, canagliflozin, dapagliflozin, dulaglutid, empagliflozin, insulinum aspartum, insulinum glulisinum, insulinum humanum, insulinum lisprum, insulinum degludecum + insulinum aspartum, insulinum detemirum, insulinum glarginum, semaglutid, sitagliptin, oraz sitagliptin + metformini hydrochloridum..

Odnaleziono jedno badanie RCT bezpośrednio porównujące wildagliptynę (WIL) vs pochodną sulfonilomocznika (SUL) – Foley 2009, jedno badanie RCT bezpośrednio porównujące WIL+SUL vs INS+SUL – Forst 2015; dwa badania RCT umożliwiające pośrednie porównanie WIL+metformina(MET)+SUL vs INS (insulina)+MET+SUL za pomocą wspólnego komparatora – Lukashovich 2014 (WIL+MET+SUL vs PLA(placebo)+MET+SUL) i badanie LEAD-5 (GLA-insulina glargine+MET+SUL vs PLA+MET+SUL); dwa badania RCT bezpośrednio porównujące WIL+INS±MET vs PLA+INS±MET – Fonseca 2007 i Kothny 2013 (nie odnaleziono badań RCT bezpośrednio porównujących wildagliptynę w połączeniu z insuliną oraz intensyfikację insulinoterapii). Odnaleziono też kilka badań wtórnych.

Porównanie WIL vs SUL wykazało, że w zakresie zmiany poziomu HbA1c od wartości wyjściowych do końca badania w populacji per protocol nie obserwowano istotnych statystycznie różnic pomiędzy grupami WIL oraz SUL pod względem stopnia redukcji HbA1c. Odsetek chorych z wyjściowym HbA1c $\geq 7\%$, którzy osiągnęli HbA1c $< 7\%$ po 104 tyg. leczenia w grupie WIL w porównaniu do grupy SUL był istotnie statystycznie niższy. Obserwowano też istotne różnice w zakresie stężenia glukozy w osoczu na czczo która była istotnie mniejsza w grupie WIL w porównaniu do grupy SUL, stężenia proinsuliny na czczo od wartości wyjściowych, gdzie w grupie WIL obserwowano redukcję natomiast w grupie SUL wzrost, wzrost stężenia insuliny na czczo w grupie WIL był istotnie statystycznie niż w grupie SUL.

Przy porównaniu WIL+SUL vs INS+SUL nie obserwowano istotnych statystycznie różnic pomiędzy grupami WIL+SUL oraz INS+SUL w częstości występowania pierwszorzędowego, złożonego punktu końcowego (odsetek chorych, którzy osiągnęli HbA1c $< 7\%$ bez potwierdzonej hipoglikemii oraz wzrostu masy ciała

≥3% po 24 tyg.). W grupie WIL+SUL istotnie częściej obserwowano brak potwierdzonej hipoglikemii oraz brak wzrostu masy ciała ≥3%.

Porównanie pośrednie WIL+MET+SUL vs INS+MET+SUL za pomocą wspólnego komparatora wykazało brak istotnych statystycznie różnic pomiędzy grupami WIL+MET+SUL oraz INS+MET+SUL w redukcji HbA1c oraz odsetku chorych, którzy osiągnęli HbA1c <7% i HbA1c ≤6,5% oraz istotnie statystycznie mniejszą redukcją FPG w grupie WIL+MET+SUL niż w grupie INS+MET+SUL.

W odniesieniu do badań porównujących WIL+INS±MET vs PLA+INS±MET dodanie wildagliptyny do terapii INS±MET okazało się bardziej skuteczne niż terapia PLA+INS±MET w zakresie:

- średniej zmiany stężenia HbA1c od wartości początkowych,
- odsetka chorych z odpowiedzią na leczenie,
- odsetka chorych, którzy uzyskali HbA1c (z wyjściowym HbA1c ≥7%) oraz z wyjściowym HbA1c pomiędzy 7 a 8%),
- odsetka chorych którzy uzyskali HbA1c ≤ 6,5%,
- redukcji HbA1c o 0,7% (Fonseca 2007: WIL+INS vs PLA+INS),
- redukcji stężenia cholesterolu całkowitego, LDL i nie-HDL (Fonseca 2007: WIL+INS vs PLA+INS).

Należy jednak pamiętać, że wildagliptyna porównywana jest z placebo, a nie intensyfikacją insulinoterapii.

W odniesieniu do analiz bezpieczeństwa w/wym badań można ogólnie stwierdzić, że nie obserwowano istotnych statystycznie lub klinicznie różnic pomiędzy grupami w częstości występowania zdarzeń niepożądanych łącznie, poważnych zdarzeń niepożądanych, zdarzeń niepożądanych prowadzących do przerwania leczenia oraz zgonów.

Odnaleziono rekomendacje dla produktów leczniczych innych niż Glypviso zawierających wildagliptynę, tj. Galvus i Jalra: 15 rekomendacji pozytywnych i 5 rekomendacji negatywnych. W rekomendacjach pozytywnych zwraca się głównie uwagę na zmniejszanie przez wildagliptynę poziomu HbA1c czy nie gorszą skuteczność w porównaniu z komparatorami oraz zbliżony koszt w porównaniu do komparatorów. W rekomendacjach negatywnych zwraca się głównie uwagę na nieustaloną skuteczność wildagliptyny w niektórych populacjach oraz błędy metodologiczne w analizach wnioskodawców, jak nieprawidłowo dobrany komparator.

Problem ekonomiczny

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy, zaktualizowanymi przez Agencję, w przypadku I linii leczenia współczynnik ICUR z perspektywy NFZ wynosi [redacted], co jest wartością [redacted] progu opłacalności.

W przypadku oszacowań dalszych linii leczenia stwierdzono następujące roczne różnice w kosztach:

- II linia leczenia (vs INS) – oszczędności w wysokości [REDACTED]
- III linia leczenia (vs INS) – oszczędności w wysokości [REDACTED]
- intensyfikacja insulinoaterapii – wzrost wydatków w wysokości [REDACTED].

Rada zwraca uwagę na to, że analiza wnioskodawcy obarczona jest szeregiem założeń i ograniczeń, w szczególności:

- wynikami przedstawionej analizy klinicznej, w ramach której nie przedstawiono dowodów skuteczności względem (planowej) intensyfikacji insulinoaterapii,
- brakiem porównania z technologiami opcjonalnymi – akarbozą w pełnym zakresie wskazań oraz z SGLT-2, GLP-1 we wskazaniach aktualnie refundowanych (w szczególności III i dalsze linie leczenia),
- przyjętymi danymi wejściowymi dot. użyteczności stanów zdrowia, a także częstotliwością zdarzeń oraz profilem zdarzeń niepożądanych przyjętym na rzecz przeprowadzonej analizy,
- uproszczoną strukturą modelu, która nie odwzorowuje przebiegu leczenia cukrzycy, w tym:
 - nie uwzględniono czasu do włączenia kolejnej terapii/ zamiany leczenia,
 - nie uwzględniono szeregu zdarzeń niepożądanych, w tym wtórnych, związanych z niewłaściwie kontrolowaną glikemią,
 - nie uwzględniono charakterystyki wejściowej modelowanej populacji (różna skuteczność terapii).

Wyżej wymienione ograniczenia mają istotny wpływ na wnioskowanie dotyczące efektywności kosztowej terapii oraz stanowią ograniczenia dla analizy wpływu na budżet.

Oszacowania wskazują, że objęcie refundacją leku Glypviso spowoduje wzrost wydatków [REDACTED] w 1. roku oraz [REDACTED] w 2. roku analizy w perspektywie płatnika publicznego oraz spadek wydatków [REDACTED] w 1. roku i [REDACTED] w drugim roku analizy w perspektywie wspólnej.

Glypviso jest finansowany w 5 krajach UE i EFTA (na 30 wskazanych). [REDACTED]

Główne argumenty decyzji

Dostępne dowody naukowe wskazują na porównywalną skuteczność wildagliptyny względem komparatorów. Względem niektórych komparatorów odnotowano też zmniejszanie przez wildagliptynę poziomu HbA1c. Wyniki analiz ekonomicznych wskazują, że finansowanie Glypviso wiązałoby się ze wzrostem wydatków płatnika w pierwszym roku refundacji oraz spadkiem wydatków

w kolejnych latach. Jednocześnie, analiza wnioskodawcy obarczona jest szeregiem założeń i ograniczeń, co sprawia, że oszacowania te są obciążone niepewnością. Zdaniem Rady finansowanie wnioskowanej technologii poszerzyłoby możliwości terapeutyczne w leczeniu cukrzycy typu 2 u osób dorosłych.

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. 2555 z późn. zm.), 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 2022 r., poz. 2561 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OT.4230.15.2022 „Wniosek o objęcie refundacją leku Glypvilo (wildagliptyna) w leczeniu cukrzycy typu 2 u osób dorosłych”, data ukończenia: 9 lutego 2023 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem KRKA-POLSKA Sp. z o.o. o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

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

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

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: KRKA-POLSKA Sp. z o.o.



**Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 20/2023 z dnia 20 lutego 2023 roku
w sprawie oceny leku Keytruda (pembrolizumabum) w ramach
programu lekowego „Leczenie uzupełniające pacjentów z rakiem
nerki (ICD-10 C64)”**

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Keytruda (pembrolizumabum), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 25 mg/ml, 1 fiol. 4 ml, kod GTIN: 05901549325126w ramach programu lekowego „Leczenie uzupełniające pacjentów z rakiem nerki (ICD-10 C64)”, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie.

Rada Przejrzystości zgłasza następujące uwagi do propozycji instrumentu dzielenia ryzyka:

- w celu ograniczenia kosztów wprowadzenia we wnioskowanym wskazaniu refundacji leku Keytruda (pembrolizumab) konieczne wydaje się dodatkowe obniżenie ceny leku.*

Rada zgłasza następujące uwagi do projektu programu lekowego:

- należy dodać do badań przy kwalifikacji do leczenia badanie ekspresji PD-L1 oraz do kryteriów kwalifikacji kryterium ekspresji PD-L1 $\geq 1\%$,*
- należy wprowadzić zapis w opisie badań realizowanych przed podaniem leku, czyli co 3 albo co 6 tygodni: „Badania wykonuje się nie rzadziej niż co 6 tygodni albo przed następnym podaniem leku, jeśli przerwa między podaniami jest dłuższa niż 6 tygodni”,*
- należy doprecyzować zapis dotyczący kryteriów kwalifikacji do programu lekowego, punkt 2, podpunkt a, myślnik pierwszy, o zapis: „bez zajęcia węzłów chłonnych (N0) lub przerzutów odległych (M0)”, co jest zgodne z kryteriami włączenia do badania klinicznego KEYNOTE-564.*

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Refundacja pembrolizumabu w monoterapii, w leczeniu adjuwantowym u pacjentów z rakiem nerkowokomórkowym ze zwiększonym ryzykiem nawrotu po nefrektomii lub po nefrektomii i resekcji zmian przerzutowych. Głównym komparatorem dla pembrolizumabu w tym wskazaniu jest naturalny

przebieg choroby (placebo). Keytruda została zarejestrowana we wnioskowanym wskazaniu przez EMA w styczniu 2022 r., a przez FDA w grudniu 2021 r.

Dowody naukowe

Skuteczność kliniczna i praktyczna

W ramach analizy klinicznej uwzględniono wyniki randomizowanego badania KEYNOTE 564, porównującego pembrolizumab z placebo w leczeniu pooperacyjnym (adjuwantowym) dorosłych pacjentów z rakiem jasnokomórkowym nerki, po zabiegu nefrektomii, z pośrednio-wysokim lub wysokim ryzykiem wznowy raka nerki lub pacjentów w stadium M1 NED (ang. no evidence of disease) raka nerki, u których wcześniej nie stosowano leczenia systemowego lub radioterapii z powodu raka nerki.

W badaniu KEYNOTE-564 pierwszorzędnym punktem końcowym było przeżycie wolne od choroby (ang. disease free survival, DFS). Jako drugorzędowe punkty końcowe wskazano przeżycie całkowite (ang. overall survival, OS) oraz jakość życia (wyniki raportowane przez pacjentów (ang. Patient-Reported Outcomes, PRO)).

Wykazano IS dłuższe DFS w grupie stosującej PEM względem grupy stosującej PLC w populacji ogólnej w 24. miesięcznym i w 30. miesięcznym okresie obserwacji.

Odnotowano również IS dłuższy DFS w grupie stosującej PEM względem PLC w subpopulacjach:

- z łącznym pozytywnym wynikiem PD-L1 ≥ 1 w 24. mies. i 30. mies.
- ze statusem przerzutów M0 w 24. mies.;
- ze statusem przerzutów M1 NED w 24. mies.;
- po całkowitej nefrektomii w 24. mies. i 30. mies.;
- z pośrednio-wysokim ryzykiem nawrotu;
- z ryzykiem nawrotu M1 NED;

Mediana przeżycia wolnego od choroby nie została osiągnięta w żadnej z grup w populacji ogólnej. Medianę DFS osiągnięto jedynie dla subpopulacji z wysokim ryzykiem nawrotu. W grupie stosującej PEM wyniosła ona 22,4 mies., w grupie stosującej PLC 11,4 mies.

Oszacowane odsetki przeżycia całkowitego dla 24-miesięcznego horyzontu czasowego wyniosły 96,6% i 93,5%, zaś dla 30 miesięcznego 95,7% i 91,4% odpowiednio w grupie PEM i PLC.

Do momentu pierwszego odcięcia danych (mediana obserwacji 24 miesiące) odnotowano 18 zgonów w grupie pacjentów stosujących PEM (4%) oraz 33 zgony w grupie pacjentów stosujących PLC (7%). Do momentu drugiego odcięcia danych (mediana obserwacji 30 miesięcy) odnotowano 23/496 zgony (5%) w grupie

pacjentów stosujących PEM oraz 43/498 zgony (9%) w grupie pacjentów stosujących PLC.

Jakość życia w ocenie pacjentów była oceniana przy pomocy dwóch kwestionariuszy: EORTC-QLQ-C30 (domeny PF i GHS/QoL) oraz FKSI-DRS.

Nie zaobserwowano klinicznie istotnych zmian dla żadnego z kwestionariuszy (klinicznie istotne zmiany dla kwestionariusza EORTC-QLQ-C30 wynoszą ≥ 10 punktów oraz ≥ 3 punkty dla kwestionariusza FKSI-DRS).

Najważniejszym ograniczeniem analizy klinicznej jest niedojrzałość wyników badania KEYNOTE-564, które nie zostało zakończone (nie są rekrutowani nowi pacjenci, jednak nadal trwa obserwacja po terapii). Należy również podkreślić ograniczenia badania związane z wysoką heterogenicznością populacji pod względem ryzyka nawrotu (znaczne różnice w liczebności pacjentów w grupach pośrednio-wysokiego i wysokiego ryzyka nawrotu). W rekomendacji NICE z 2022 r. zwrócono uwagę na niedojrzałe dane z badania KEYNOTE-564, aczkolwiek komisja NICE uznała, że pembrolizumab obniża ryzyko nawrotu w porównaniu do placebo i zarekomendowała jego stosowanie w ocenianej populacji.

Analiza bezpieczeństwa

U większości pacjentów w obu grupach wystąpiły zdarzenia niepożądane (96,3% w grupie PEM, 91,1% w grupie PLC), stwierdzono IS większe ryzyko wystąpienia zdarzeń niepożądanych o dowolnym stopniu nasilenia w grupie stosującej PEM względem PLC. Stwierdzono IS większe ryzyko wystąpienia zdarzeń niepożądanych w stopniu 3.-5., przerwania leczenia z powodu zdarzeń niepożądanych, poważnych zdarzeń niepożądanych oraz przerwania leczenia z powodu poważnych zdarzeń niepożądanych w grupie stosującej PEM względem PLC.

Wśród poszczególnych zdarzeń niepożądanych z dowolnej przyczyny odnotowanych w okresie obserwacji stwierdzono IS większe ryzyko wystąpienia: świądu, wysypki, nudności, kaszlu oraz niedoczynności lub nadczynności tarczycy w grupie stosującej PEM względem PLC. Nie stwierdzono IS różnic w częstości występowania między badanymi grupami w zakresie: zmęczenia, biegunki, bólu stawów, bólu głowy, astenii, bólu pleców oraz zwiększenia stężenia kreatyniny we krwi.

Stwierdzono IS większe ryzyko wystąpienia zdarzeń niepożądanych o dowolnym stopniu nasilenia związane z leczeniem, zdarzeń niepożądanych w stopniu 3.-5. związane z leczeniem, przerwania leczenia z powodu zdarzeń niepożądanych związane z leczeniem, poważnych zdarzeń niepożądanych związane z leczeniem oraz zdarzeń niepożądanych o dowolnym stopniu nasilenia o podłożu immunologicznym w grupie stosującej PEM względem PLC.

Wszystkie wytyczne (NCCN 2023, NCI 2022 PTOK 2021, ESMO 2021, EAU 2022) wskazują pembrolizumab jako opcję terapeutyczną zalecaną w leczeniu

adjuwantowym raka nerki po częściowej lub całkowitej nefrektomii u pacjentów ze zwiększonym ryzykiem nawrotu.

Problem ekonomiczny

Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych i cena progowa

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy dla perspektywy NFZ stosowanie produktu leczniczego Keytruda (pembrolizumab) w porównaniu do stosowania PLC jest droższe i skuteczniejsze. Oszacowany ICUR w wariantcie z RSS znajduje się poniżej progu opłacalności, o którym mowa w ustawie o refundacji.

Wpływ na budżet płatnika publicznego

Zgodnie z wynikami analizy podstawowej, wydanie pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych produktu leczniczego Keytruda (pembrolizumab), spowoduje wzrost wydatków płatnika publicznego o ok. [redacted] [redacted] odpowiednio w I. i II. roku refundacji w wariantcie z RSS.

Rekomendacje refundacyjne

W wyniku wyszukiwania odnaleziono jedną rekomendację pozytywną i 2 rekomendacje warunkowo pozytywne. W rekomendacjach zwraca się głównie uwagę na wydłużenie czasu do nawrotu choroby po zastosowaniu pembrolizumabu w porównaniu do placebo.

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. 2555 z późn. zm.), 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 2022 r., poz. 2561 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OT.4231.62.2022 „Wniosek o objęcie refundacją leku Keytruda (pembrolizumab) w ramach programu lekowego: »Leczenie uzupełniające pacjentów z rakiem nerki (ICD-10 C64)«, data ukończenia: 09.02. 2023 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem MSD Polska Dystrybucja Sp. z o.o. o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

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

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

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: MSD Polska Dystrybucja Sp. z o.o.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 21/2023 z dnia 20 lutego 2023 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku Renastart
we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek u pacjentów
pediatrycznych powyżej 2 roku życia

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację leku Renastart, proszek, puszka á 400 g, we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek u pacjentów pediatrycznych powyżej 2 roku życia.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Rozszerzenie grupy docelowej potencjalnych użytkowników śssp z o dzieci starsze niż 2 lata. Obecnie pomimo, że brak jest przekonujących dowodów na działanie Renastartu, według nielicznych doniesień i opinii powołanych przez AOTMiT ekspertów, preparat refundowany jest u dzieci z PNN, w celu normalizacji kaliemii i fosfatemii oraz poprawienia bilansu energetyczno-białkowego. Ponadto, zgodnie z Rekomendacją Prezesa AOTMiT nr 32/2020 z dnia 15 lipca 2020 r. refundacja do 4 roku jest możliwa w przypadku zapewnienia konieczności kontynuacji terapii w przypadku osób, które rozpoczęły stosowanie Renastart przed ukończeniem 2 roku życia i u których utrzymują się korzyści ze stosowania terapii i przewyższają ryzyko jej stosowania.

Dowody naukowe

Nie pojawiły się nowe istotne dane dot. skuteczności i bezpieczeństwa preparatu Renastart od czasu gdy Rada opiniowała technologię w 2020 roku.

Produkt Renastart wymieniany jest w brytyjskich wytycznych NHS 2022 oraz BDA 2020. Autorzy wytycznych BDA 2020 zwracają uwagę, że zagadnieniem dyskusyjnym jest moment rozpoczęcia ograniczenia fosforanów w diecie u pacjentów z PChN.

Problem ekonomiczny

Wydatki płatnika publicznego związane z finansowaniem produktu Renastart na jednego pacjenta mogą wynieść ok. 30,3 tys. zł w skali roku przy uwzględnieniu średniej dawki (124 g/dzień), 11,5 tys. zł przy dawce minimalnej (47 g/dzień) oraz 45,7 tys. zł przy dawce maksymalnej (187 g/dzień). Oszacowane roczne koszty w populacji docelowej wyniosą w przybliżeniu 3,9 mln

zł w wariancie podstawowym (min.: 0,21; maks.: 12,5). Należy jednak zwrócić uwagę, że wszystkie uwzględnione warianty zakładają codzienne stosowanie przez pacjentów produktu Renastart. Według stanowisk eksperckich dawkowanie musi być indywidualne, zależne od wielkości niedoborów energetycznych i zaburzeń, głównie potasu i fosforu w surowicy krwi, a także od wartości kalorycznych i odżywczych innych przyjmowanych pokarmów.

Główne argumenty decyzji

- Bardzo ograniczone dowody naukowe potwierdzające skuteczność i bezpieczeństwo stosowania preparatu Renastart, a także brak dowodów naukowych porównujących ocenianą interwencję z komparatorami – preparatami Renastep i Kindergen.*
- Oceniany śsspż stosowany jest jako uzupełnienie diety u dzieci i młodzieży w różnym wieku, co bezpośrednio przekłada się na jego dawkowanie, ponadto czas stosowania jest indywidualny w zależności od stanu klinicznego pacjenta i zalecanego leczenia dietetycznego a tym samym nie jest możliwe wiarygodne oszacowanie kosztu terapii.*

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 2022 r., poz. 2561 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. 2555 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania nr: OT.4211.24.2022 „Renastart we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek u pacjentów pediatrycznych powyżej 2. roku życia”, data ukończenia: 16 lutego 2023 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 17/2023 z dnia 20 lutego 2023 roku
o projekcie programu „Program wczesnego wykrywania nowotworów
jelita grubego wśród mieszkańców gminy Pszczyna na lata 2023-
2027”

Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego: „Program wczesnego wykrywania nowotworów jelita grubego wśród mieszkańców gminy Pszczyna na lata 2023-2027”.

Uzasadnienie

Autorzy odnalezionych rekomendacji są zgodni, że głównym sposobem zapobiegania skutkom raka jelita grubego jest prowadzenie badań przesiewowych nacelowanych na wczesne wykrycie tego problemu zdrowotnego. Metodą przesiewową uznawaną za złoty standard diagnostyki RJG jest kolonoskopia (ACG 2021, NCCN 2021, ACS 2020, GGPO 2019, ASGE 2017, USMSTF 2017a, PTOK 2015).

Przedmiotem oceny jest projekt programu polityki zdrowotnej zaplanowany do realizacji przez gminę Pszczyna. W projekcie programu odniesiono się do sytuacji epidemiologicznej przedstawiając dane światowe, ogólnopolskie i regionalne.

W projekcie programu odniesiono się do aktualnych MPZ – w kontekście przedstawienia rekomendowanych dla województwa śląskiego działań. Wskazano, że założenia projektu programu są zgodne z „Mapami potrzeb zdrowotnych na okres 2022-2026 – rekomendowane kierunki działań dla województwa śląskiego:3.6. Podejmowanie działań mających na celu zwiększenie zgłaszalności na badania przesiewowe [...] oraz działań z zakresu profilaktyki nowotworowej”.

Należy zaznaczyć, że w części dot. uzasadnienia potrzeby wdrożenia programu, wnioskodawca odnosi się do nieaktualnego Narodowego Programu Zwalczenia Chorób Nowotworowych. Z dniem wejścia w życie Narodowej Strategii Onkologicznej, w drodze uchwały Rady Ministrów, utraciła moc uchwała nr 208 Rady Ministrów z dnia 3 listopada 2015 r. w sprawie ustanowienia programu

wieloletniego na lata 2016-2024 pod nazwą „Narodowy Program Zwalczenia Chorób Nowotworowych” (M.P. 2022 poz. 814).

Interwencję w ocenianym projekcie programu stanowią: działania informacyjno-edukacyjne, konsultacja pielęgniarska (etap I) wraz z kwalifikacją do badania przesiewowego, badanie przesiewowe (kolonoskopia diagnostyczna w sedacji lub znieczuleniu ogólnym z możliwością pobrania wycinków do badania histopatologicznego kolonoskopia z polipektomią- etap II). Program ma być realizowany w latach 2023-2027.

Populację docelową programu stanowić będą mieszkańcy miasta Pszczyna bez objawów mogących potencjalnie wskazywać na nowotwór jelita grubego, u których w ciągu ostatnich 10 lat nie wykonywano badania kolonoskopowego.

W projekcie programu zaplanowano akcję informacyjno-edukacyjną. Wnioskodawca wskazuje, że poza dostarczeniem pacjentom plakatów/ulotek oraz informatorów edukacyjnych, działania edukacyjne będą prowadzone przez realizatora w ramach współpracy z placówkami POZ, AOS, innymi podmiotami leczniczymi, organizacjami pozarządowymi, a także lokalnymi mediami (radio, prasa, media społecznościowe). Podkreślono także, że działania edukacyjne będą prowadzone podczas konsultacji lekarskich przed wykonaniem badań przesiewowych oraz podczas zapisów do programu przez przeszkolone pielęgniarki. W projekcie zaplanowano przeprowadzenie ewaluacji poziomu wiedzy, zaplanowane zostały „badania poziomu wiedzy uczestników przy zastosowaniu opracowanego przez Realizatora pre-testu na początku wizyty oraz post-testu na zakończenie wizyty, uwzględniającego min. 5 pytań zamkniętych”.

Projektowana populacja i proponowane interwencje w zadowalającym stopniu wpisują się w rekomendacje zawarte w opinii Rady Przejrzystości nr 26/2022 z dnia 28 lutego 2022 roku w sprawie zalecanych technologii medycznych, działań przeprowadzanych w ramach programów polityki zdrowotnej oraz warunków realizacji tych programów, dotyczących profilaktyki nowotworu jelita grubego. Aktualnie w Polsce realizowany jest program „Profilaktyka 40 plus” jak również od IV kwartału 2022 roku program badań przesiewowych j. grubego (kolonoskopowych) realizowany przez NFZ. Wg dostępnych informacji na terenie woj. śląskiego program ten realizowany jest w 33 jednostkach, żadna z nich nie jest zlokalizowana na terenie gminy Pszczyna.

Proponowany program w etapie II stanowi powielenie programu badań przesiewowych realizowanego na terenie województwa śląskiego po rozstrzygnięciu ogłoszonych przez NFZ konkursów w dniu 9 listopada 2022.

Planowany całkowity koszt realizacji programu został określony na 365 500 zł (73 100 zł rocznie). Program ma zostać sfinansowany z budżetu miasta Pszczyna. Zaznaczono jednocześnie, że miasto będzie starało się o dofinansowanie 40%

kosztów działań realizowanych w programie na podstawie art. 48d ust. 1 Ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych.

Zgodnie ze stanowiskiem Rady nt wdrażania programów profilaktyki pierwotnej raka jelita grubego (promowanie zdrowego stylu życia i zwalczanie czynników ryzyka) oraz promocji uczestnictwa w koordynowanych centralnie programach przesiewowych, jak również działań edukacyjnych w w/w zakresie przez jednostki samorządu terytorialnego Rada pozytywnie opiniuje proponowaną akcję edukacyjną. JST powinny prowadzić także działania wspierające i informacyjne nt. realizowanego w kraju populacyjnego programu przesiewowego w kierunku raka jelita grubego, raka piersi i raka szyjki macicy.

Główny argument decyzji

Dostępność do obecnie realizowanego programu badań przesiewowych raka jelita grubego finansowanego przez NFZ.

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 2022 r., poz. 2561, z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr: OT.431.84.2022 „Program wczesnego wykrywania nowotworów jelita grubego wśród mieszkańców gminy Pszczyna na lata 2023-2027”, data ukończenia luty 2023 oraz Raportu nr: OT.434.1.2022 „Profilaktyka nowotworu jelita grubego” z lutego 2022 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 18/2023 z dnia 20 lutego 2023 roku
o projekcie programu „Program profilaktyki cukrzycy typu 2 dla
mieszkańców Pszczyny w wieku 45-65 lat na lata 2023-2027”

Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego: „Program profilaktyki cukrzycy typu 2 dla mieszkańców Pszczyny w wieku 45-65 lat na lata 2023-2027”.

Uzasadnienie

Program polityki zdrowotnej zaplanowany został do realizacji przez Miasto Pszczyna z zakresu diabetologii. Interwencje przewidziane do realizacji w ramach programu obejmują przeprowadzenie wykładów edukacyjnych, badań diagnostycznych, porady lekarskiej/pielęgniarskiej, porady dietetycznej i porady specjalisty aktywności fizycznej. Program ma być realizowany w latach 2023-2027.

Głównym celem projektu programu jest „poprawa wykrywalności cukrzycy typu 2 wśród mieszkańców Pszczyny w wieku 45-65 lat poprzez kompleksowe działania z zakresu profilaktyki pierwotnej i wtórnej prowadzone w latach 2023-2027”. Cel ten jest możliwy do osiągnięcia za pomocą przeprowadzenia zaplanowanych badań przesiewowych oraz zaproponowanych działań profilaktycznych. Należy jednak zaznaczyć, że samo wykrycie choroby nie przyniesie wymiernej poprawy stanu zdrowia pacjenta, gdyż konieczne jest zapewnienie leczenia tuż po zdiagnozowaniu.

Populację docelową stanowią mieszkańcy Miasta Pszczyna w wieku 45-65 lat z wyłączeniem osób, u których już wcześniej zdiagnozowano cukrzycę typu 2. Populację docelową działań profilaktycznych powinny stanowić osoby z grupy ryzyka wystąpienia cukrzycy typu 2.

Kryteria włączenia do programu obejmują: wiek 45-65 lat oraz zamieszkiwanie na terenie miasta Pszczyna. Kryteria wyłączenia z programu to zdiagnozowana uprzednio cukrzyca typu 2 oraz wykonanie badania w kierunku cukrzycy w ciągu ostatnich 3 lat.

W ramach programu zaplanowano przeprowadzenie:

- kwalifikacji do działań; badania FPG (oznaczenie glikemii na czczo w osoczu krwi żyłnej);*

- badania OGTT (doustny test obciążenia glukozą 75g w 120 minucie); badań antropometrycznych i pomiaru ciśnienia tętniczego krwi.

Zaplanowano także poradę lekarską/pielęgniarską, poradę dietetyczną i konsultację ze specjalistą aktywności fizycznej, a także cykl wykładów edukacyjnych.

Wnioskodawca odniósł się do zaplanowanych działań edukacyjnych. Wskazano, że w ramach pierwszego etapu programu edukacja zdrowotna obejmie „cykl wykładów z zakresu profilaktyki cukrzycy typu 2 (wykłady z zakresu patogenezy, objawów, czynników ryzyka cukrzycy typu 2, rozwoju powikłań, edukacji żywieniowej oraz aktywności fizycznej dla osób w wieku 45-65 lat itp.) prowadzone przez lekarza, lekarza rodzinnego, internistę lub pielęgniarkę lub/i dietetyka, odbywających się z częstotliwością 2 razy na rok, realizowanych w formie wykładów 90-minutowych”). Ponadto w treści projektu wnioskodawca podkreślił rolę i znaczenie dla realizacji działań edukacyjnych w kontekście profilaktyki cukrzycy typu 2. W projekcie programu nie wskazano czy w ramach realizowanych wykładów uczestnicy otrzymają materiały edukacyjne. Wnioskodawca zaplanował przeprowadzenia pre- i post-testu w celu zweryfikowania skuteczności działań edukacyjnych, do projektu programu nie został załączony wzór ankiety.

Program zakłada przeprowadzenie jego monitorowania i ewaluacji. Ocena jakości świadczeń zostanie przeprowadzona na podstawie: „corocznej analizy wyników ankiety satysfakcji uczestników programu” oraz „bieżącej analizy pisemnych uwag dot. realizacji programu”.

Wnioskodawca oszacował całkowity koszt PPZ na 186 500 zł (37 300 zł rocznie). Program ma zostać sfinansowany z budżetu Miasta Pszczyna.

Główne argumenty decyzji

Oceniane interwencje są już finansowane w ramach koordynowanej opieki w zakresie diagnostyki leczenia cukrzycy.

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 2022 r., poz. 2561, z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr: OT.431.86.2022 „Program profilaktyki cukrzycy typu 2 dla mieszkańców Pszczyny w wieku 45-65 lat na lata 2023-2027”, data ukończenia luty 2023 oraz raportu nr: OT.434.1.2021 „Program profilaktyki cukrzycy typu 2” ze stycznia 2021 r.