



BP.401.12.2023.AG

**Protokół nr 12/2023
z posiedzenia Rady Przejrzystości
w dniu 20 marca 2023 roku
w formie wideokonferencji**

Tomasz Pasierski otworzył posiedzenie o godzinie 10:01

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

1. Damian Czyżewski
2. Dominik Gajewski
3. Anna Gręziak
4. Maciej Karaszewski
5. Dorota Kilańska
6. Marcin Kołakowski
7. Bogusław Machaliński
8. Adam Maciejczyk
9. Tomasz Pasierski
10. Anetta Undas

Proponowany porządek obrad:

1. Ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Maysiglu (sitagliptinum) we wskazaniu: leczenie cukrzycy typu 2.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Cosentyx (secukinumabum) w ramach programu lekowego B.33 „Leczenie chorych z aktywną postacią reumatoidalnego zapalenia stawów i młodzieńczego idiopatycznego zapalenia stawów (ICD-10: M05, M06, M08)”.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Jakavi (ruxolitinibum) w ramach programu lekowego „Leczenie czerwienicy prawdziwej (ICD-10: D45)”.
5. Przygotowanie opinii w sprawie oceny zasadności utworzenie nowej treści programu lekowego B.97. „Leczenie dorosłych chorych na pierwotną małopłytkowość immunologiczną (ICD-10: D69.3)”.
6. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku One Alfa (alfacalcidol) we wskazaniu: krzywica hipofosfatemiczna (XLH).
7. Przygotowanie stanowiska w sprawie w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku Mnesis (idebenon) we wskazaniu: zanik nerwu wzrokowego typu 1 u pacjenta pediatrycznego (związany z mutacją w genie OPA1).
8. Przygotowanie opinii o projektach programów polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego:
 - 1) „Leczenie niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego in vitro dla mieszkańców Powiatu Kłodzkiego w latach 2023-2025”.

- 2) „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców Gminy Kobylnica w wieku 60 lat i więcej na lata 2024-2025”.

9. Zakończenie posiedzenia.

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

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

Ad 2. Analityk Agencji przedstawił najważniejsze informacje z raportu dot. leku Maysiglu (wniosek refundacyjny) we wskazaniu: leczenie cukrzycy typu 2.

Projekt stanowiska Rady przedstawił Maciej Karaszewski.

W dyskusji głos zabrał Tomasz Pasierski.

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

Ad 3. Analityk Agencji podsumował raport dot. leku leku Cosentyx (wniosek refundacyjny) w ramach programu lekowego B.33 „Leczenie chorych z aktywną postacią reumatoidalnego zapalenia stawów i młodzieńczego idiopatycznego zapalenia stawów (ICD-10: M05, M06, M08)”.

Rada wysłuchała stanowiska eksperta.

Projekt stanowiska Rady przedstawił Dominik Gajewski.

W dyskusji głos zabrali: Tomasz Pasierski, Dominik Gajewski, Anetta Undas i Maciej Karaszewski.

W związku z brakiem innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 2 do protokołu).

Ad 4. Analityk Agencji omówił raport dot. leku Jakavi (wniosek refundacyjny) w ramach programu lekowego „Leczenie czerwienicy prawdziwej (ICD-10: D45)”.

Projekt stanowiska Rady przedstawił Bogusław Machaliński.

W dyskusji głos zabrali: Tomasz Pasierski, Maciej Karaszewski i Anetta Undas.

W związku z brakiem innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 3 do protokołu).

Ad 5. Analityk Agencji streścił raport w sprawie oceny zasadności utworzenie nowej treści programu lekowego B.97. „Leczenie dorosłych chorych na pierwotną małopłytkowość immunologiczną (ICD-10: D69.3)”.

We wstępnej dyskusji głos zabrali: Anetta Undas i Tomasz Pasierski.

Projekt opinii Rady przedstawił Bogusław Machaliński.

W dalszej części dyskusji głos zabrali: Tomasz Pasierski, Bogusław Machaliński, Maciej Karaszewski i Anna Gręziak.

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

Ad 6. Analityk Agencji przekazał najważniejsze informacje z raportu w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku One Alfa (import docelowy) we wskazaniu: krzywica hipofosfatemiczna (XLH).

Projekt stanowiska Rady przedstawił Marcin Kołakowski.

W dyskusji głos zabrał Tomasz Pasierski.

W związku z brakiem innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 5 do protokołu).

Ad 7. Analityk Agencji omówił problematykę dot. zasadności wydawania zgód na refundację leku Mnesis (import docelowy) we wskazaniu: zanik nerwu wzrokowego typu 1 u pacjenta pediatrycznego (związany z mutacją w genie OPA1).

Projekt stanowiska Rady przedstawił Adam Maciejczyk.

W dyskusji głos zabrali: Anetta Undas i Tomasz Pasierski.

W związku z brakiem innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 9 głosów „za” przy 1 głosie „przeciw” (10 osób obecnych) uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 6 do protokołu).

Ad 8. 1) Analityk Agencji omówił program polityki zdrowotnej z zakresu leczenia niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego in vitro dla mieszkańców Powiatu Kłodzkiego w latach 2023-2025.

Projekt opinii Rady przedstawiła Anna Gręziak.

W dyskusji głos zabrał Tomasz Pasierski.

W związku z brakiem innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 7 do protokołu).

2) Analityk Agencji omówił program polityki zdrowotnej dot. rehabilitacji leczniczej mieszkańców Gminy Kobylnica w wieku 60 lat i więcej na lata 2024-2025”.

Projekt opinii Rady przedstawiła Dorota Kilańska.

W dyskusji głos zabrali: Tomasz Pasierski i Dorota Kilańska.

W związku z brakiem innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 8 do protokołu).

Ad 9. Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 13:19.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 27/2023 z dnia 20 marca 2023 roku
w sprawie oceny leku Maysiglu (sitagliptyna) we wskazaniu:
leczenie cukrzycy typu 2 u osób dorosłych

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Maysiglu (sitagliptyną), tabletki powlekane, 100 mg, 28 tabl., kod GTIN: 03838989721473 we wskazaniach:

- *do stosowania u dorosłych z cukrzycą typu 2 w celu poprawy kontroli glikemii:*
 - *w monoterapii u pacjentów nieodpowiednio kontrolowanych wyłącznie dietą i ćwiczeniami fizycznymi, u których stosowanie metforminy jest niewłaściwe z powodu przeciwwskazań lub nietolerancji;*
 - *w dwuskładnikowej terapii doustnej w skojarzeniu z:*
 - a. *metforminą w przypadku, gdy dieta i ćwiczenia fizyczne oraz stosowanie jedynie metforminy nie wystarczają do odpowiedniej kontroli glikemii;*
 - b. *pochodną sulfonylomocznika w przypadku, gdy dieta i ćwiczenia fizyczne oraz stosowanie jedynie maksymalnej tolerowanej dawki pochodnej sulfonylomocznika nie wystarczają do odpowiedniej kontroli glikemii oraz w przypadku, gdy stosowanie metforminy jest niewłaściwe z powodu przeciwwskazań lub nietolerancji;*
 - *w trójskładnikowej terapii doustnej w skojarzeniu z pochodną sulfonylomocznika i metforminą w przypadku, gdy dieta i ćwiczenia fizyczne oraz stosowanie tych produktów leczniczych nie wystarczają do odpowiedniej kontroli glikemii;*
- *do stosowania jako lek uzupełniający w stosunku do insuliny (z metforminą lub bez), kiedy dieta i ćwiczenia fizyczne w połączeniu ze stałą dawką insuliny nie zapewniają odpowiedniej kontroli glikemii,*

w ramach istniejącej grupy limitowej 258.0 „Doustne leki przeciwcukrzycowe – inhibitory DPP-4” i wydawanie z odpłatnością 30%.

Jednocześnie Rada uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Maysiglu (sitagliptyną) we wskazaniach do stosowania u dorosłych z cukrzycą typu 2 w celu poprawy kontroli glikemii

- w dwuskładnikowej terapii doustnej w skojarzeniu z agonistą receptora aktywowanego przez proliferatory peroksysomów typu gamma (PPAR γ) (tj. tiazolidynodionem), jeśli zastosowanie agonisty receptora PPAR γ jest wskazane i kiedy stosowanie diety i ćwiczeń fizycznych w połączeniu z agonistą receptora PPAR γ w monoterapii nie zapewnia odpowiedniej kontroli glikemii;
- w trójskładnikowej terapii doustnej w skojarzeniu z agonistą receptora PPAR γ i metforminą, kiedy zastosowanie agonisty receptora PPAR γ jest wskazane i kiedy stosowanie diety i ćwiczeń fizycznych w połączeniu z tymi produktami leczniczymi nie wystarczają do odpowiedniej kontroli glikemii.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Cukrzyca typu 2 to grupa chorób metabolicznych charakteryzująca się hiperglikemią wynikającą z defektu wydzielania i/lub działania insuliny. Przewlekła hiperglikemia wiąże się z uszkodzeniem, zaburzeniem czynności i niewydolnością różnych narządów, zwłaszcza oczu, nerek, nerwów, serca i naczyń krwionośnych. Cukrzyca typu 2 zaliczana jest do chorób cywilizacyjnych, a w Polsce choruje ok. 4,5 mln osób.

Łącznie zidentyfikowano 28 technologii refundowanych w leczeniu cukrzycy typu 2. Ogółem wartość refundacji leków przeciwcukrzycowych wyniosła ponad 14 mld zł. Aktualnie refundowane są następujące opcje terapeutyczne: inhibitory alfa-glukozydazy – akarboza; flozyny (kanagliflozyna, dapagliflozyna, empagliflozyna); agoniści GLP-1 (dulaglutyd, semaglutyd); pochodne sulfonilomocznika (gliklazyd, glimepiryd, glipizyd); biguanidy o działaniu przeciwcukrzycowym – metformina; inhibitory DPP-4 (sitagliptyna, wildagliptyna, skojarzenie metformina+sitagliptyna); insuliny ludzkie i analogi insuliny ludzkich (aspart, glusyna, humanum, lispro); długodziałające analogi insuliny (degludec, skojarzenie degludec+aspart, detemir, glargina).

Aktualnie (wg Obwieszczenia z dnia 20.02.2023 r.), produkt leczniczy Maysiglu jest refundowany we wskazaniu „W doustnej terapii, 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 HbA_{1c}>7% (przez co najmniej 3 miesiące).

Agoniści receptora aktywowanego przez proliferatory peroksysomów typu gamma (PPAR γ) (tiazolidynodiony) nie są refundowane w Polsce.

Dowody naukowe

W badaniu Tamez-Pérez 2015 po 24 tygodniach leczenia wykazano brak istotnych statystycznych różnic pomiędzy stosowaniem sitagliptyny oraz pochodnej sulfonylomocznika w zakresie zmiany HbA1c (MD=0,37% [95%CI: -0,11; 0,85]). Różnica redukcji HbA1c pomiędzy ramionami jest niższa niż przyjęta w badaniu różnica (0,39) zdefiniowana celem potwierdzenia hipotezy wyższości jednej terapii nad drugą (tj. SUL nad sitagliptyną). Również odsetki chorych, którzy osiągnęli HbA1c <7% po 24 tyg. leczenia nie różniły się istotnie między grupami (OR=0,77 [0,49; 1,21]). W zakresie zmiany masy ciała po 12 tyg. leczenia nie wykazano istotnych różnic pomiędzy stosowanymi terapiami (MD=-0,676, p=ns).

Wykazano na istotnie statystycznie rzadsze występowanie hipoglikemii oraz ciężkiej hipoglikemii w grupie stosującej SITA niż w grupie leczonej SUL (odpowiednio: OR=0,24 [95%CI: 0,15; 0,40]; OR=0,06 [0,003; 0,99]). Nie wykazano różnic między badanymi grupami w zakresie częstości występowania zdarzeń niepożądanych (AEs) oraz ciężkich AEs.

Analiza skuteczności sitagliptyny w porównaniu z insuliną glargine jako terapii dodanych do metforminy i pochodnej sulfonylomocznika na podstawie porównania pośredniego wykazała:

- brak istotnych statystycznie różnic pomiędzy grupami SITA+SUL±MET oraz INS+SUL±MET w redukcji HbA1c (MD=0,07% [95%CI: -0,21; 0,35]);
- istotnie statystycznie większy odsetek chorych leczonych insuliną glargine uzyskał HbA1c<7,0% w porównaniu z chorymi leczonymi sitagliptyną (OR=9,24 [95%CI: 1,38; 61,66]);
- istotnie statystycznie mniejszą redukcją FPG po stosowaniu sitagliptyny niż insuliny glargine (MD=22,53 mg/dl [95%CI: 8,51; 36,55]);
- brak istotnej statystycznie różnicy w zmianie masy ciała pomiędzy grupami (MD=0,77 kg [95%CI: -0,85; 2,39]).

Nie ma istotnie statystycznych różnic pomiędzy porównywalnymi schematami leczenia w zakresie występowania zdarzeń niepożądanych (jakichkolwiek, ciężkich i prowadzących do przerwania leczenia), w tym hipoglikemii, hipoglikemii ciężkiej, zaburzeń żołądkowo-jelitowych, biegunki, nudności i wymiotów.

Analiza skuteczności schematu: sitagliptyna+metformina+insulina versus placebo+metformina+insulina wykazała:

- istotnie statystycznie większą redukcję HbA1c w grupie SITA niż w PLA (MD=-0,50% [95%CI: -0,70; -0,30]);

- istotnie statystycznie większy odsetek chorych osiągających HbA1c <7% w grupie sitagliptyny niż w grupie placebo (OR=2,51 [95%CI: 1,85; 3,40], RD=0,13 [95%CI: 0,09; 0,17]);
- istotnie statystycznie większą redukcję FPG w grupie SITA w porównaniu do PLA w badaniu Mathieu 2015 (MD=-0,60 mmol/l [95%CI: -1,03; -0,17]) i w badaniu Vilsbøll 2010 (MD=-15,00 mg/dl [95%CI: -22,49; -7,51]);
- brak istotnych statystycznie różnic pomiędzy ramionami w zakresie zmiany masy ciała w badaniu Mathieu 2015 (MD=0,3 kg [95%CI: -0,8; 0,2]) i w badaniu Vilsbøll 2010 (MD=0,00 kg [95%CI: -0,47; 0,47]);
- istotnie statystycznie mniejszy wzrost dobowej dawki insuliny w grupie chorych przyjmujących jednocześnie sitagliptynę w porównaniu do placebo w badaniu Mathieu 2015 (MD=-4,8 [95%CI: -8,37; -1,23]).
- istotnie statystycznie większą częstość występowania jakichkolwiek zdarzeń niepożądanych w grupie SITA+MET±INS, niż w grupie PLA+MET±INS (OR=1,45 [95%CI: 1,06; 1,98]) w badaniu Vilsbøll 2010, co jednak nie zostało potwierdzone w badaniu Mathieu 2015, gdzie nie odnotowano znaczących różnic między grupami (OR=0,79 [0,57; 1,10]),
- rozbieżne wyniki w zakresie występowania zdarzeń niepożądanych związanych z leczeniem, tj. w badaniu Mathieu 2015 istotnie statystycznie mniejszą częstość występowania zdarzeń niepożądanych związanych z leczeniem w grupie chorych leczonych sitagliptyną w porównaniu do placebo (OR=0,60 [95%CI: 0,40; 0,90]) oraz w badaniu Vilsbøll 2010 istotnie statystycznie większą częstość występowania zdarzeń niepożądanych związanych z leczeniem w grupie badanej, niż kontrolnej (OR=1,99 [95%CI: 1,21; 3,27]).
- w badaniu Mathieu 2015 istotnie statystycznie mniejszą w grupie sitagliptyny niż w grupie placebo częstość występowania hipoglikemii (OR=0,51 [95%CI: 0,37; 0,70]) i hipoglikemii bezobjawowej (OR=0,52 [95%CI: 0,32; 0,84]),
- rozbieżne wyniki w zakresie występowania hipoglikemii objawowej, tj. w badaniu Mathieu 2015 istotnie statystycznie mniejszą w grupie sitagliptyny niż w grupie placebo częstość występowania hipoglikemii objawowej (OR=0,58 [95%CI: 0,41; 0,81]) oraz w badaniu Vilsbøll 2010 istotnie statystycznie większą częstość występowania hipoglikemii objawowej w grupie chorych leczonych sitagliptyną w porównaniu do placebo (OR=2,16 [95%CI: 1,30; 3,59]),
- nieistotne statystycznie różnice między ocenianymi grupami w zakresie występowania ciężkich zdarzeń niepożądanych, zdarzeń niepożądanych prowadzących do przerwania leczenia oraz występowania ciężkiej hipoglikemii.

Wytyczne ADA 2023 wymieniają inhibitory DPP-4 - do których należy sitagliptyna - w grupie leków stosowanych u pacjentów, gdzie celem leczenia jest wyrównanie glikemii i obniżenie masy ciała. Skuteczność w kontroli glikemii inhibitorów DPP-4 określono jako umiarkowana (ang. intermediate) i jednocześnie najniższą spośród wszystkich zalecanych leków. W grupie pacjentów, u których celem leczenia jest obniżenie masy ciała, skuteczność inhibitorów DPP-4 określono jako neutralną, czyli ich stosowanie nie przyczynia się do obniżenia masy ciała.

Stosowanie inhibitorów DPP-4 jest rekomendowane we wszystkich odnalezionych wytycznych (czy to wprost czy uwzględnia je w algorytmie leczenia). Inhibitory DPP-4 w monoterapii są zalecane głównie w przypadku przeciwwskazań dotyczących stosowania metforminy (PTD 2022, NICE 2015/2022). Większość wytycznych rekomenduje stosowanie inhibitorów DPP-4 w terapii złożonej dwu- lub trójskładnikowej, najczęściej w skojarzeniu z metforminą lub innym lekiem przeciwcukrzycowym w przypadku nietolerancji/przeciwwskazań do metforminy (PTD 2022, NICE 2015/2022).

Zgodnie z analizą wytycznych, inhibitory DPP-4 znajdują zastosowanie na każdym etapie leczenia cukrzycy typu 2, począwszy od monoterapii (w przypadku nietolerancji lub przeciwwskazań do stosowania metforminy), poprzez terapię złożoną dwuskładnikową, aż do terapii trójskładnikowej stosowanej na 3. i 4. etapie leczenia cukrzycy typu 2 (PTD 2022, NICE 2015/2022).

Problem ekonomiczny

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy:

- stosowanie sitagliptyny w miejsce pochodnych sulfonilomocznika jest tańsze i skuteczniejsze (dominacja);
- w II i III linii leczenia stosowanie sitagliptyny jest tańsze względem stosowania insuliny;
- uwzględnienie sitagliptyny w schemacie terapeutycznym związane jest ze wzrostem kosztów względem stosowania wyłącznie insuliny (lub insuliny+metformina).

Ogólnie prognozowany jest minimalny spadek wydatków całkowitych płatnika publicznego związanych z wprowadzeniem finansowania sitagliptyny we wnioskowanych wskazaniach.

Główne argumenty decyzji

1. Badania RCT i wytyczne kliniczne wskazują na skuteczność i bezpieczeństwo stosowania sitagliptyny we wnioskowanych wskazaniach (za wyjątkiem wskazania w połączeniu z agonistą receptora aktywowanego przez proliferatory peroksosomów typu gamma (PPAR γ)).
2. Oszczędności dla płatnika.

3. Brak RCT dla wskazania w skojarzeniu z agonistą receptora aktywowanego przez proliferatory peroksysomów typu gamma (PPARγ).

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.4230.14.2022 „Wniosek o objęcie refundacją leku Maysiglu (sitagliptyna) w leczeniu cukrzycy typu 2 u osób dorosłych”; data ukończenia 9 marca 2023 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 28/2023 z dnia 20 marca 2023 roku

w sprawie oceny leku Cosentyx (sekukinumab) w ramach programu lekowego: „Leczenie chorych z aktywną postacią reumatologicznego zapalenia stawów i młodzieńczego idiopatycznego zapalenia stawów (ICD-10: M05, M06, M08)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Cosentyx (sekukinumab), roztwór do wstrzykiwań w ampułkostrzykawce, 150 mg/ml, 2, amp.-strzyk. 1 ml, kod EAN: 05909991203832 w ramach programu lekowego: „Leczenie chorych z aktywną postacią reumatologicznego zapalenia stawów i młodzieńczego idiopatycznego zapalenia stawów (ICD-10: M05, M06, M08)”, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie.

Rada nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego.

Rada Przejrzystości uważa propozycję instrumentu dzielenia ryzyka za niewystarczającą.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Młodzieńcze idiopatyczne zapalenie stawów (MIZS) należy do chorób tkanki łącznej o podłożu immunologicznym. MIZS definiuje się jako heterogenną grupę przewlekłych zapaleń stawów, o zróżnicowanym obrazie klinicznym, przebiegu i rokowaniu oraz o nie w pełni wyjaśnionej etiologii, które wystąpiło u pacjenta poniżej 16. r.ż., trwa co najmniej 6 tyg. i w którego przypadku wykluczono inne przyczyny zapalenia stawów.

MIZS jest najczęściej rozpoznawaną przewlekłą artropatią dzieci i młodzieży, ujawniającą się częściej u dziewczynek w stosunku do występowania u chłopców. Wyjątek stanowi postać choroby przebiegająca z zapaleniem przyczepów ścięgien, która około trzy razy częściej rozpoznawana jest u przedstawicieli płci męskiej. Zachorowalność na MIZS pozostaje w zależności, obok płci pacjenta, także od uwarunkowań etnicznych, środowiskowych oraz klimatycznych.

Zgodnie z najnowszymi danymi, w Polsce rozpoznaje się rocznie 5–6 nowych zachorowań na 100 tysięcy dzieci. Występujące różnice w danych epidemiologicznych wynikają prawdopodobnie z niejednorodnych definicji

i kryteriów rozpoznania artropatii stosowanych w różnych rejonach świata oraz ekspozycji dzieci predysponowanych genetycznie na odmienne wpływy czynników środowiskowych.

Dowody naukowe

W ramach przeprowadzonego przeglądu systematycznego odnaleziono 1 randomizowane badanie oceniające efektywność stosowania SEK w postaci podskórnych wstrzyknięć \pm cDMARDs w porównaniu z PLC \pm cDMARDs w leczeniu dzieci i młodzieży z aktywnym młodzieńczym idiopatycznym zapaleniem stawów (MIZS) z towarzyszącym zapaleniem przyczepów ścięgniastych (ERA) oraz aktywnym młodzieńczym tłuszczycowym zapaleniem stawów (MŁZS) (badanie rejestracyjne SEK – JUNIPERA). Była to pełnotekstowa publikacja Brunner 2023. Dla głównego punktu końcowego (czas do wystąpienia zaostrzenia choroby) HR wynosiło 0,28 (0,13; 0,63); $p < 0,001$.

Dla punktów końcowych dotyczących statusu choroby nieaktywnej, ustąpienia zapalenia przyczepów ścięgniastych oraz ustąpienia zapalenia palców w badaniu JUNIPERA nie odnotowano różnic istotnych statystycznie w analizowanej populacji ogółem (ERA + MŁZS) oraz populacji pacjentów z ERA i z MŁZS.

Ekspozycja prezentowanego profilu bezpieczeństwa dla sekukinumabu wyniosła 141,5 pacjento-lat ($601,0 \pm 232,67$ dni). Podczas trwania badania JUNIPERA nie odnotowano żadnego przypadku zgonu. Częstość występowania zdarzeń niepożądanych oraz ciężkich zdarzeń niepożądanych przez cały okres leczenia SEK wynosiła odpowiednio 91,7% oraz 14,6%. Do najczęściej występujących zdarzeń niepożądanych podczas stosowania SEK przez cały okres leczenia należały: zapalenie nosogardzieli (33,3%), biegunka (22,9%), nudności (22,9%) oraz zakażenia górnych dróg oddechowych (20,8%). W przypadku grupy chorych otrzymujących PLC częstość występowania zdarzeń niepożądanych oraz ciężkich zdarzeń niepożądanych wynosiła odpowiednio 92,1% oraz 10,5%. Do najczęściej występujących zdarzeń niepożądanych podczas stosowania placebo w trakcie II fazy (TP2) należały: zapalenie nosogardzieli (28,9%), nudności (21,1%), zakażenia górnych dróg oddechowych (23,7%) oraz biegunka (15,8%).

Do analizy włączono także badanie retrospektywne Baer 2022, którego wyniki przedstawiono w ramach dodatkowej analizy efektywności praktycznej.

W rekomendacji HAS z 2022 roku pozytywnie oceniono zastosowanie SEK w leczeniu ERA i MŁZS zgodnie z zarejestrowanymi wskazaniami. W rekomendacji określono, że SEK stanowi postępowanie terapeutyczne w leczeniu pacjentów w wieku od 6 do 12 lat z aktywnym młodzieńczym tłuszczycowym zapaleniem stawów.

W styczniu 2023 roku G-BA wydała pozytywną opinię na temat finansowania SEK w ocenianych wskazaniach.

Problem ekonomiczny

W kontekście porównania wnioskowanej technologii medycznej z komparatorem wykonano analizę użyteczności kosztów. Wybór techniki analitycznej Wnioskodawca uzasadnił wynikami badania JUNIPERA, gdzie wykazano „wyższą skuteczność technologii wnioskowanej w stosunku do leczenia konwencjonalnego m.in. pod względem czasu do zaostrzenia choroby”. Wybór techniki analitycznej należy uznać za zasadny. Przyjęto horyzont czasowy obejmujący okres od momentu rozpoczęcia leczenia w ramach programu lekowego do osiągnięcia przez pacjenta pełnoletności (technicznie wynoszący 6 lat).

Wybór cDMARDs jako komparatora uznano za zasadny. W opinii analityków Agencji SEK należałoby porównać także z lekami biologicznymi.

Stosowanie SEK ± cDMARDs w miejsce cDMARDs jest droższe i skuteczniejsze z perspektywy NFZ. Oszacowany ICUR dla porównania SEK ± cDMARDs vs cDMARDs wyniósł [REDACTED] i 94 384 PLN/QALY w wariancie bez uwzględnienia RSS. Oszacowane wartości ICUR znajdują się poniżej progu opłacalności. Wyniki dla porównania SEK ± cDMARDs vs cDMARDs z perspektywy wspólnej są zbieżne z wynikami z perspektywy NFZ.

W związku z przedstawieniem randomizowanego badania klinicznego, dowodzącego wyższości SEK ± cDMARDs nad technologią medyczną dotychczas refundowaną w danym wskazaniu w opinii analityków Agencji nie zachodzą okoliczności art. 13 ustawy o refundacji.

W ramach deterministycznej analizy wrażliwości testowano szeroki zakres parametrów. Testowane w jednokierunkowej analizie wrażliwości założenia nie wpływają na zmianę wniosku dotyczącego użyteczności kosztowej wnioskowanej technologii z perspektywy NFZ oraz wspólnej.

Model Wnioskodawcy został zweryfikowany przez analityków Agencji, przedstawione wyniki prawidłowo określają użyteczność kosztową wnioskowanej interwencji w porównaniu z wybranym komparatorem.

W przypadku podjęcia decyzji o objęciu refundacją produktu Cosentyx w ramach wnioskowanego programu lekowego, prognozowane wydatki płatnika publicznego na leczenie pacjentów w populacji docelowej, z perspektywy płatnika publicznego:

- [REDACTED] w kolejnych dwóch latach po wprowadzeniu wnioskowanej technologii do refundacji w wariancie z uwzględnieniem RSS;

- [redacted] w kolejnych dwóch latach po wprowadzeniu wnioskowanej technologii do refundacji w wariantcie bez uwzględnienia RSS.

[redacted]

podanych przez eksperta klinicznego pozyskanych w ramach prac nad niniejszą AWA (ok. 160 pacjentów, w tym 90 z ERA i 70 pacjentów z MŁZS), dlatego wyniki AWB dotyczące oszacowań populacyjnych związanych z wnioskowanym lekiem, oparte na danych epidemiologicznych oraz opiniach ekspertów, stanowiące główne źródło dostępnych danych, należy uznać za właściwe.

Główne argumenty decyzji

1. Pozytywnie oceniono zastosowanie SEK w leczeniu ERA i MŁZS zgodnie z zarejestrowanymi wskazaniami. Uznano, że SEK stanowi postępowanie terapeutyczne we wszystkich wnioskowanych wskazaniach.
2. Z uwagi na zwiększenie populacji finansowanej ze środków publicznych zasadne jest pogłębienie RSS.

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.4231.63.2022 „Wniosek o objęcie refundacją leku Cosentyx (sekukinumab) w ramach programu lekowego: „Leczenie chorych z aktywną postacią reumatologicznego zapalenia stawów i młodzieńczego idiopatycznego zapalenia stawów (ICD-10: M05, M06, M08)”; data ukończenia: 9 marca 2023 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia przedstawiciela 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 2022 r., poz. 902) w zw. z art. 11 ust. 2 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2022 r., poz. 1233).

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

Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Novartis Poland Sp. z o.o.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 29/2023 z dnia 20 marca 2023 roku
w sprawie oceny leku Jakavi (ruksolitynib) we wskazaniu: „Leczenie
chorych na czerwienicę prawdziwą (ICD-10: D45)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktów leczniczych:

- *Jakavi (ruksolitynib), tabletki 5 mg, 56 sztuk, GTIN: 05909991053758,*
- *Jakavi (ruksolitynib), tabletki 10 mg, 56 sztuk GTIN: 05909991198282,*
- *Jakavi (ruksolitynib), tabletki 15 mg, 56 sztuk, GTIN: 05909991053789,*
- *Jakavi (ruksolitynib), tabletki 20 mg, 56 sztuk, GTIN: 05909991053833,*

w ramach programu lekowego „Leczenie chorych na czerwienicę prawdziwą (ICD-10: D45)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Czerwienica prawdziwa (PV) jest nowotworem mieloproliferacyjnym Ph(-) charakteryzującym się znacznym zwiększeniem liczby erytrocytów, z towarzyszącym często zwiększeniem wytwarzania krwinek białych i płytek krwi. Etiologia jest nieznana. Choroba rozwija się w wyniku nowotworowej proliferacji zmutowanego klonu wywodzącego się z multipotencjalnej krwiotwórczej komórki macierzystej szpiku. Najczęstszym i najważniejszym powikłaniem PV jest zakrzepica tętnicza i żylna, których patomechanizm nie jest do końca poznany. Roczna zapadalność wynosi 2-3/100 tys. Przedział wiekowy zachorowania zawiera się najczęściej pomiędzy 40. a 80. r.ż. Mediana wieku zachorowania wynosi ok. 65 lat, u ~5% pacjentów chorobę rozpoznaje się przed 40. r.ż. U prawie wszystkich chorych występuje mutacja genu JAK2: mutacja V617F (96%) lub w eksonie 12 (4%). U 1–3% pacjentów po około 10 latach, PV transformuje do AML. Rokowanie w przypadku transformacji do AML jest złe, ze średnim czasem przeżycia nieprzekraczającym roku. U około 6% pacjentów po medianie obserwacji 10 lat następuje transformacja do MF. Mediana przeżycia w przypadku tych chorych wynosi około 3 lat.

Oceniany lek miałby znaleźć się w istniejącej grupie limitowej (1152.0, Ruksolitynib).

Produkt leczniczy Jakavi (ruksolitynib) był przedmiotem oceny w AOTMiT:

- w ramach programu lekowego „Leczenie mielofibrozy pierwotnej oraz mielofibrozy wtórnej w przebiegu czerwienicy prawdziwej i nadpłytkowości samoistnej” w 2014 r. oraz 2016 r.;
- w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych (RDTL) we wskazaniu: mielofibroza w przebiegu czerwienicy prawdziwej (ICD10: D45): w 2020 r. (nr w BIP AOTMiT: 289/2020). Zarówno Rada Przejrzystości, jak i Prezes AOTMiT wyrazili negatywne opinie dotyczące finansowania leku Jakavi (ruksolitynib) w tym wskazaniu w ramach RDTL;

Zgodnie z danymi NFZ, w latach 2021-2, w leczeniu pacjentów z czerwienicą prawdziwą (ICD-10 D45) ze środków publicznych finansowane były substancje: hydroksymocznik, peginterferon alfa-2A, anagrelid, busulfan, etopozyd.

Dowody naukowe

W ramach analizy włączono badania RESONSE i RESPONSE 2.

W badaniu RESPONSE pierwszorzędowy punkt końcowy osiągnęło 23% pacjentów z grupy RUX oraz 1% pacjentów z grupy stosującej BAT. Stosowanie RUX wiązało się z ponad 25 krotnie większym prawdopodobieństwem uzyskania odpowiedzi na leczenie (redukcja objętości śledziony względem początku badania o $\geq 35\%$ i kontrola hematokrytu) w porównaniu do BAT.

W badaniach RESPONSE i RESPONSE 2 wykazano istotną statystycznie przewagę w ramach kontroli hematokrytu oraz całkowitej kontroli hematologicznej.

W badaniu RESPONSE zaobserwowano istotną statystycznie przewagę RUX nad BAT w ramach zbiorczej oceny częstość występowania zmniejszenia wskaźnika nasilenia objawów klinicznych (TSS) mierzonego za pomocą kwestionariusza MPN-SAF o co najmniej 50% względem poziomu wyjściowego. Wyniki badania RESPONSE 2 oraz przeprowadzonej metaanalizy wskazują na brak istotnych statystycznie różnic.

Porównując RUX vs IFN w ramach badania RESPONSE wykazano istotną statystycznie przewagę w ramach RD dla kontroli hematokrytu i zmniejszenie objętości śledziony o $\geq 35\%$ - w ramach pierwszorzędowego punktu końcowego (brak różnicy istotnej statystycznie w RR), dla pozostałych punktów końcowych różnice nie były istotne statystycznie. W badaniu RESPONSE 2 jedyna istotna statystycznie różnica między porównywanymi interwencjami dotyczyła kontroli hematokrytu, gdzie wykazano przewagę na korzyść RUX.

W odniesieniu do obserwacji długoterminowych, w badaniu RESPONSE mediana czasu trwania kontroli hematokrytu nie została osiągnięta w 5-letnim okresie obserwacji. Wśród pacjentów leczonych ruksolitynibem, prawdopodobieństwo utrzymania kontroli hematokrytu do 80. tyg. wynosiło 89%. W badaniu RESPONSE 2, wśród pacjentów, którzy osiągnęli kontrolę hematokrytu w 28. tygodniu, prawdopodobieństwo utrzymania odpowiedzi do 80. tygodnia

wynosiło 78% w ramieniu ruksolitynibu. Prawdopodobieństwo utrzymania kontroli hematokrytu w 224 tyg. (licząc od 32 tyg.) wyniosło 73%.

W badaniu RESPONSE, u pacjentów leczonych ruksolitynibem prawdopodobieństwo utrzymania całkowitej remisji hematologicznej przez co najmniej 80 tygodni wynosiło 69%. W badaniu RESPONSE 2, mediana czasu trwania całkowitej remisji hematologicznej wynosiła 34 tygodnie w ramieniu ruksolitynibu.

W badaniu RESPONSE mediana czasu trwania odpowiedzi śledziona na leczenie nie została osiągnięta w 5-letnim okresie obserwacji. Prawdopodobieństwo utrzymania odpowiedzi śledziona na leczenie (zmniejszenia objętości śledziona o $\geq 35\%$) ruksolitynibem w 224 tyg. (licząc od 32 tyg.) wyniosło 72%.

W badaniu RESPONSE, 83% pacjentów leczonych ruksolitynibem nie wymagało flebotomii, a 6,4% chorych wymagało trzech lub więcej zabiegów upuszczania krwi w 256. tygodniu leczenia. W grupie pacjentów, którzy przeszli na leczenie ruksolitynibem ze standardowej terapii, 87,3% chorych nie wymagało flebotomii, a 7,6% pacjentów wymagało trzech lub więcej flebotomii w 256 tygodniu terapii. W badaniu RESPONSE 2, podczas 5-letniego okresu obserwacji, 69% pacjentów w grupie ruksolitynibu w porównaniu z 36% pacjentów w grupie najlepszej dostępnej terapii nie wymagało flebotomii.

Przy medianie obserwacji wynoszącej 3,8 roku, odnotowano 92 zgony (24%), odpowiednio 10 w grupie RUX oraz 82 w grupie stosującej BAT. Współczynniki śmiertelności wynosiły 4,2 /100 pacjentolat w grupie stosującej RUX oraz 6,4 w grupie stosującej BAT. Analiza po dopasowaniu metodą PSM (ang. Propensity Score Matching) nie wykazała istotnych statystycznie różnic między porównywanymi interwencjami.

W badaniach RESPONSE oraz RESPONSE 2 nie odnotowano istotnych statystycznie różnic między porównywanymi interwencjami zakresie hematologicznych zdarzeń niepożądanych. Przeprowadzone metaanalizy wykazały istotną statystycznie różnicę w zakresie częstości występowania anemii – stosowanie RUX (ruksolitynib) wiązało się z częstszym jej występowaniem, w porównaniu do BAT (najlepszej dostępnej terapii).

W ramach niehematologicznych zdarzeń niepożądanych obserwowano istotne statystycznie różnice dotyczące świądu – stosowanie RUX wiązało się z mniejszym ryzykiem względnym występowania świądu (RESPONSE 2) oraz duszności – stosowanie RUX wiązało się z większym ryzykiem względnym. Do najczęstszych zdarzeń niepożądanych należały ból głowy, świąd oraz astenia.

Odnalezione wytyczne postępowania w leczeniu czerwienicy prawdziwej nie prezentują jednolitego standardu postępowania, jednak zdecydowana większość z nich (m.in. PTOK 2020, CEMPO 2018, ESMO 2015, AHS 2020, BSH 2018) rekomenduje włączenie/rozważenie ruksolitynibu II lub III linii leczenia

u pacjentów z opornością lub nietolerancją na leczenie hydroksymocznikiem z wysokim ryzykiem zakrzepowym (wiek 60 lat lub powyżej lub przebycie epizodu zakrzepowego w przeszłości).

Problem ekonomiczny

Stosowanie ruksolitynibu w miejsce pegylowanego interferonu alfa-2a jest droższe i skuteczniejsze. Oszacowany ICUR dla porównania ruksolitynib vs peg-INF-2a znajduje się powyżej progu opłacalności.

Stosowanie ruksolitynibu w miejsce BAT jest droższe i skuteczniejsze. Oszacowany ICUR dla porównania ruksolitynib vs BAT znajduje się powyżej progu opłacalności.

Największym ograniczeniem AE jest pominięcie w analizie części komparatorów, tj. dakarbazyny, etopozydu i melfalanu, aczkolwiek wg danych z NFZ spośród nich tylko etopozyd stosowany był w Polsce u zaledwie 2 pacjentów w ostatnich latach.

Na ograniczenie wiarygodności oszacowań AE wpływa także przyjęcie założenia o takiej samej skuteczności wszystkich substancji stosowanych w ramach BAT oraz peginterferonu, konieczność ekstrapolacji danych dotyczących skuteczności, a także brak informacji czy dane pacjentów z rejestru GEMFIN odnosiły się do subpopulacji pacjentów z PV ze stwierdzoną nieskutecznością lub nietolerancją terapii hydroksymocznikiem.

Wyniki analizy wpływu na budżet płatnika publicznego wskazały, że objęcie refundacją ocenianej technologii lekowej będzie związane z kosztami ponoszonymi z perspektywy NFZ. Wydatki te wyniosą:

Główne ograniczenia analizy wynikają z niepewności oszacowania liczebności populacji docelowej, które ze względu na zakres dostępnych danych oparto na opinii ekspertów. Wszystkie oszacowania liczebności populacji opierały się na szacunkach liczebności pacjentów włączanych do programu lekowego, dotyczącego innego wskazania, tj. PL B.81 (leczenie mielofibrozy pierwotnej lub wtórnej).

Główne argumenty decyzji

1. Niska skuteczność kliniczna leku ruksolitynib w leczeniu pacjentów z PV w porównaniu do obecnie stosowanych terapii.
2. Brak efektywności kosztowej proponowanego PL.

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.4231.71.2022 „Wniosek o objęcie refundacją leku Jakavi (ruksolitynib) we wskazaniu: »Leczenie chorych na czerwienicę prawdziwą (ICD-10: D45)«”; data ukończenia 9 marca 2023 r.

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 2022 r., poz. 902) w zw. z art. 11 ust. 2 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2022 r., poz. 1233).

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

Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Novartis Poland Sp. z o.o.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 36/2023 z dnia 20 marca 2023 roku
w sprawie zasadności wprowadzenia kompleksowej zmiany
polegającej na utworzeniu nowej treści programu lekowego
B.97. „Leczenie dorosłych chorych na pierwotną małopłytkowość
immunologiczną (ICD-10: D69.3)”

Rada Przejrzystości uważa za zasadne wprowadzenie kompleksowej zmiany polegającej na utworzeniu nowej treści programu lekowego B.97 „Leczenie dorosłych chorych na pierwotną małopłytkowość immunologiczną (ICD-10: D69.3)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Pierwotna małopłytkowość immunologiczna jest nabytą chorobą autoimmunologiczną, charakteryzującą się izolowaną małopłytkowością (PLT<100 tys./ μ L), bez zdefiniowanych czynników wywołujących małopłytkowość i/lub zaburzeń przebiegających z małopłytkowością. Zachorowalność roczną w ogólnej populacji dorosłych szacuje się na 3/100 tys., a chorobowość na 8-10/100 tys. Średni wiek zachorowania przypada na 5. dekadę życia.

Propozycja zmian w Programie będąca przedmiotem oceny obejmuje:

- doprecyzowania w kryteriach kwalifikacji sformułowania niedostatecznej odpowiedzi na co najmniej jedną wcześniejszą terapię farmakologiczną, w tym brak odpowiedzi na kortykosteroidy lub stwierdzenie steroidozależności lub nietolerancji kortykosteroidów,*
- usunięcia z kryteriów kwalifikacji istnienia przeciwwskazań do wykonania splenektomii albo nieskuteczności splenektomii w przypadku kwalifikacji do leczenia eltrombopagiem lub awatrombopagiem,*
- usunięcia z kryteriów kwalifikacji warunku nieskuteczności splenektomii w przypadku kwalifikacji do leczenia romiplostymem,*
- dodanie możliwości zmiany leku w ramach programu lekowego w przypadku braku odpowiedzi na leczenie,*
- dodanie możliwości wydania pacjentowi do samodzielnego podania na okres maksymalnie 3 miesięcy romiplostymu, po wyrażeniu zgody przez lekarza,*

- przy dawkowaniu awatrombopagu – dodanie zapisu informującego o dawkowaniu zgodnie z aktualną na dzień wydania decyzji Charakterystyką Produktu Leczniczego;
- przy monitorowaniu leczenia – zmiany częstości wykonywania badania okulistycznego z 1 raz na 3 miesiące na 1 raz na 12 miesięcy (dotyczy leczenia eltrombopagiem).

Wytyczne kliniczne

W leczeniu II linii pierwotnej małopłytkowości immunologicznej (ITP) wytyczne wskazują wśród dostępnych opcji na agonistów receptora trombopoetyny TPO-RA (ASH 2019, BHS 2021, wytyczne międzynarodowego panelu ekspertów z 2019 r., DGHO/ÖGHO/SGH/GPOH/DGTI 2018), splenektomię (ASH 2019, BHS 2021) i rytuksymab (ASH 2019, BHS 2021, wytyczne międzynarodowego panelu ekspertów z 2019 r.). W zaleceniach BHS 2021 zaznaczono, że splenektomia jest wskazana tylko u pacjentów z dużą skłonnością do krwawień.

Konsensus ekspertów z Europy z 2023 r. wskazuje TPO-RA jako preferowane leczenie drugiego rzutu u pacjentów z przewlekłą ITP, którzy są oporni na poprzednie leczenie takie jak kortykosteroidy lub immunoglobuliny. DGHO/ÖGHO/SGH/GPOH/DGTI z 2018 r. u pacjentów bez lub z minimalnym krwawieniem (WHO 0-I) zaleca leczenie II linii po niepowodzeniu wcześniejszej terapii linii I.

Wytyczne ASH 2019, BHS 2021, oraz DGHO/ÖGHO/SGH/GPOH/DGTI z 2018 r. zalecają opóźnienie splenektomii o co najmniej 1 rok od diagnozy pierwotnej małopłytkowości immunologicznej ze względu na możliwość samoistnej remisji choroby w ciągu pierwszego roku (międzynarodowy panel ekspertów z 2019 r. zaleca odczekać od 12 do 24 miesięcy po diagnozie). ASH 2019 i konsensus ekspertów europejskich z 2023 r. zwracają także uwagę na potrzebę indywidualnego wyboru drugiej linii leczenia z uwzględnieniem preferencji pacjenta.

Zgodnie z zaleceniami ekspertów z Europy Środkowej z 2023 r, BHS 2021 i wytycznymi międzynarodowego panelu ekspertów z 2019 r. zaleca się rozważenie zmiany TPO-RA, jeśli pacjent z przewlekłą ITP nie odpowiada na leczenie. Wytyczne międzynarodowego panelu ekspertów z 2019 r. wskazują, że zmiana leczenia na inny TPO-RA oraz leczenie sekwencyjne wpływa pozytywnie na uzyskaną odpowiedź na leczenie i bezpieczeństwo terapii.

W rekomendacjach BHS 2021 odniesiono się do możliwości samodzielnego podawania romiplostymu, wytyczne wskazały, że może być to rozważone.

W odniesieniu do częstości wykonywania badania okulistycznego podczas leczenia eltrombopagiem, w zaleceniach międzynarodowego panelu ekspertów z 2019 r. wskazano, że ostatnie badania nie wykazały znaczącego wzrostu częstości występowania zaćmy przy leczeniu eltrombopagiem. BHS 2021 zaleca

wykonanie badania okulistycznego u pacjentów z jednym lub kilkoma czynnikami ryzyka (podeszły wiek, stosowanie sterydów, palenie tytoniu) leczonych eltrombopagiem lub romiplostymem. DGHO/ÖGHO/SGH/GPOH/DGTI z 2018 r. zalecają kontrolę okulistyczną u leczonych eltrombopagiem.

Wpływ na wydatki płatnika publicznego

Wg NFZ liczba dorosłych pacjentów leczonych w ramach programu lekowego B.97. wynosiła w 2022 roku 198 pacjentów (dane za I półrocze). Program lekowy B.97 został rozszerzony o awatrombopag w 2023 r., zatem prawdopodobnie liczba pacjentów włączanych do leczenia nadal będzie wzrastać, ponadto rozłoży się na trzy substancje dostępne w PL. Wydatki płatnika publicznego na realizację programu lekowego B.97 wyniosły w 2021 roku 7,12 mln PLN i wzrosły względem 2020 r. o ok. 1,94 mln PLN.

Biorąc pod uwagę aktualną liczbę leczonych pacjentów w ramach PL (198 pacjentów) oraz pacjentów leczonych w ramach RDTL (20 pacjentów) oszacowano, iż obecna liczba pacjentów leczonych agonistami receptora trombopoetyny (TPO-RA) wynosi 218 pacjentów.

Proponowana zmiana modyfikuje kryteria kwalifikacji do programu, w związku z czym liczebność populacji włączanej do programu najprawdopodobniej będzie się zwiększać. Wg ekspertów, proponowane zmiany w programie lekowym B.97 spowodują prawdopodobny wzrost populacji pacjentów objętych programem o dodatkowo około 109–150 pacjentów. Wówczas liczba pacjentów kwalifikujących się obecnie do leczenia wzrosłaby do około 348 pacjentów (średnia liczba pacjentów na podstawie 2 opinii eksperckich). Po wprowadzeniu proponowanych zmian i zwiększeniu populacji o około 130 pacjentów (wzrost o ok. 60% względem obecnej liczby pacjentów w PL) miesięczne koszty programu lekowego B.97 [REDACTED]

w wariancie podstawowym/maksymalnym oszacowań.

Główne argumenty decyzji

1. Proponowane zmiany w programie są zgodne z rekomendacjami klinicznymi towarzystw hematologicznych oraz grup eksperckich europejskich i amerykańskich.
2. Zmodyfikowane kryteria włączenia do PL przekładają się na korzyść dla pacjenta, gdyż umożliwią dostęp do najbardziej skutecznej terapii dla chorych z ITP po niepowodzeniu leczenia kortykosteroidami.
3. Zmniejszenie częstości wykonywania badania okulistycznego podczas leczenia eltrombopagiem jest zasadne z punktu widzenia organizacyjnego i nie stanowi zagrożenia dla pacjentów.

4. *Proponowane zmiany w PL [REDAKTED], jednak standard leczenia ITP będzie zgodny z obowiązującymi wytycznymi, a pacjenci w mniejszej skali będą poddawani terapiom obciążonym toksycznością, ryzykiem odległych powikłań i zbyt mało skutecznym (splenektomia, długotrwałe stosowanie kortykosteroidów).*

Uwagi

Odnosząc się do wskaźników efektywności terapii, jakie mogłyby zostać zastosowane w przypadku przedmiotowych terapii w części „monitorowanie programu lekowego”, Rada proponuje uwzględnić liczbę płytek i krwawienia, wg terminologii zaproponowanej przez Międzynarodową Grupę Roboczą (Blood, 2009, 113, 2386-2393).

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: OT.422.0.1.2023 „Opracowanie dotyczące oceny zasadności wprowadzenia kompleksowej zmiany polegającej na utworzeniu nowej treści programu lekowego B.97. »Leczenie dorosłych chorych na pierwotną małopłytkowość immunologiczną (ICD-10: D69.3)«”; data ukończenia 16 marca 2023 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców (Amgen, Novartis Poland sp. z o.o. i Swedish Orphan Biovitrum AB (publ)).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem (Amgen, Novartis Poland sp. z o.o. i Swedish Orphan Biovitrum AB (publ)) 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 2022 r., poz. 902) w zw. z art. 11 ust. 2 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2022 r., poz. 1233).

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

Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Amgen, Novartis Poland sp. z o.o. i Swedish Orphan Biovitrum AB (publ)



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 30/2023 z dnia 20 marca 2023 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku One-Alfa
(alfacalcidol) we wskazaniach: krzywica hipofosfatemiczna (XLH)

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację leków:

- *One Alfa Alfacalcidol kapsułki 0,25 µg,*
- *One Alfa Alfacalcidol kapsułki 0,5 µg,*
- *One Alfa Alfacalcidol kapsułki 1 µg,*

we wskazaniu: krzywica hipofosfatemiczna (XLH).

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Ocena zasadności wydawania zgody na refundację w ramach importu docelowego produktu leczniczego:

- *One Alfa Alfacalcidol kapsułki 0,25 µg,*
- *One Alfa Alfacalcidol kapsułki 0,5 µg,*
- *One Alfa Alfacalcidol kapsułki 1 µg,*

we wskazaniu: krzywica hipofosfatemiczna (XLH)

Dowody naukowe

Nie odnaleziono opracowań wtórnych i randomizowanych badań klinicznych natomiast dostępnych jest pięć badań pierwotnych z niższego poziomu dowodów naukowych. Są to następujące badania: Beck-Nielsen 2012, Hansen 2018, McKenna 2018, Rafaelsen 2016 oraz Shanbhogue 2017. Przedmiotowe badania wskazują m.in., na skuteczność produktu stosowanego razem z solami fosforanów. Należy mieć na uwadze, że istnieją alternatywne technologie bardziej skuteczne i lepiej tolerowane przez pacjentów. Wskazane badania wykazały istotnie mniejszą częstość występowania deformacji u dorosłych leczonych w dzieciństwie alfacalcidolem w stosunku do nie leczonych. Ponadto obserwowano istotnie wyższe wartości zjonizowanego wapnia i FGF23 w surowicy (odpowiednio $p = 0,01$ i $0,008$) oraz istotnie niższe wartości TPO4/GFR i fosforanu w surowicy ($p = 0,001$ i $0,008$) w porównaniu z pacjentami nigdy nieleczonymi. Obserwacje między innymi stanu zębiny z badania Rafaelsen 2016 potwierdzają opublikowane wytyczne dotyczące leczenia i monitorowania

dziedzicznej krzywicy hipofosfatemicznej u dzieci. Autorzy zalecają rozpoczęcie skojarzonego leczenia doustnymi fosforanami i aktywowaną witaminą D (kalcytriolem lub alfakalcydolem) po postawieniu diagnozy. Trzeba mieć na uwadze, że obecnie rekomenduje się nowsze leczenie burosumabem, nie refundowanym w Polsce, które w opinii wytycznych jest skuteczniejsze i mniej uciążliwe dla pacjenta w porównaniu do terapii konwencjonalnej.

Problem ekonomiczny

Zakres populacji potencjalnych beneficjentów leczenia kształtuje się od 13 (liczba indywidualnych numerów PESEL przedstawionych w zleceniu MZ), przez 18 (populacja obliczona na podstawie liczby urodzeń i oszacowanej zapadalności na krzywicę XLH wynoszącej 1:20 000 urodzeń w raporcie WS.4211.3.2022.ZZCh) do 30 (opinia ekspercka). Szacowany roczny koszt importu leku One-Alfa dla 13, 18 i 30 pacjentów wynosić będzie odpowiednio 18,22 tys. zł, 25,23 tys. zł, 42,05 tys. zł.

Główne argumenty decyzji

- 1. Wytyczne praktyki klinicznej: NICE 2018; BPABG 2020 oraz GDG 2022 uznają doustne podawanie soli fosforanowych w kilku dawkach dziennie i aktywnych analogów witaminy D (w tym alfakalcydolu) za konwencjonalną terapię XLH.*
- 2. Relatywnie niski koszt terapii, która przy realizacji importu z krajów gdzie cena leku jest atrakcyjna mógłby jeszcze zostać obniżony.*
- 3. Dostępne badania potwierdzające skuteczność tej technologii medycznej.*

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 na potrzeby oceny zasadności wydawania zgody na refundację nr: OT.4211.20.2022 „One-Alfa (alfacalcidol) we wskazaniach: krzywica hipofosfatemiczna (XLH)”; data ukończenia 15.03.2023 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 31/2023 z dnia 20 marca 2023 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację
leku Mnesis (idebenon) we wskazaniu: zanik nerwu wzrokowego
typu 1 u pacjenta pediatrycznego (związany z mutacją w genie OPA1)

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne wydawanie zgód na refundację leku Mnesis, idebenon, tabletki 45 mg we wskazaniu: zanik nerwu wzrokowego typu 1 u pacjenta pediatrycznego (związany z mutacją w genie OPA1).

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Zanik nerwu wzrokowego typu 1, inaczej: autosomalny dominujący zanik nerwów wzrokowych (ang. autosomal dominant optic atrophy – ADOA) należy do grupy mitochondrialnych dziedzicznych neuropatii wzrokowych. Główną przyczyną tej choroby są mutacje w genie OPA1, które wykrywa się u ok. 60% pacjentów.

ADOA ujawnia się klinicznie w I dekadzie życia jako podstępne, obustronne, postępujące obniżenie ostrości wzroku. Obraz kliniczny jest trudny do różnicowania z innymi chorobami neurodegeneracyjnymi, dlatego bardzo ważna jest możliwość wykonania u tych pacjentów badań genetycznych identyfikujących molekularne podłoże choroby.

Dowody naukowe

W wyniku wykonanego przeglądu odnaleziono 2 publikacje oceniające skuteczność i bezpieczeństwo produktu leczniczego Mnesis stosowanego u pacjentów z zanikiem nerwu wzrokowego typu 1:

- Barboni 2013 – pilotażowe badanie otwarte dotyczące stosowania idebenonu u pacjentów z zanikiem nerwu wzrokowego typu 1 (N=7, w tym pacjenci pediatryczni N=2)*
- Romagnoli 2020 - badanie obserwacyjne z historyczną grupą kontrolną, porównanie grupy pacjentów stosujących idebenon z grupą pacjentów nieleczonych (N=87, w tym pacjenci pediatryczni – brak informacji o liczbie)*

W badaniu Barboni 2013 oceniano stosowanie idebenonu u pacjentów z autosomalnym dominującym zanikiem nerwów wzrokowych z mutacją w genie OPA1. Zaobserwowano średnią poprawę ostrości widzenia (mean visual acuity,

VA) w obu oczach w momencie ostatniego follow-up w porównaniu do stanu wyjściowego. W oku prawym średnia wartość VA wzrosła z $0,22 \pm 0,16$ do $0,29 \pm 0,19$ w momencie pierwszego follow-up, a następnie do $0,31 \pm 0,21$ w momencie drugiego follow-up (ANOVA, $P = 0,034$), różnica osiągnęła istotność statystyczną ($p < 0,05$) jedynie w przypadku drugiego follow-up. W oku lewym średnia wartość VA wzrosła z $0,23 \pm 0,19$ do $0,28 \pm 0,21$ w momencie pierwszego follow-up i utrzymała się na poziomie $0,28 \pm 0,21$ w momencie drugiego follow-up (ANOVA, $P = 0,014$), różnica osiągnęła istotność statystyczną ($p < 0,05$). Ponadto 5 z 7 pacjentów (średnia wieku: 23 ± 15 lat) zgłosiło subiektywne odczucia poprawy funkcji wzrokowej.

W badaniu Romagnoli 2020 u pacjentów przyjmujących idebenon odnotowano większy skumulowany odsetek pacjentów ze stabilizacją/powrotem ostrości wzroku w porównaniu do wartości wyjściowych (92%, $n=46$) niż u pacjentów nieleczonych (75%, $n=28$), $p=0,03$ (Chi square test). Ponadto wykazano istotny statystycznie związek między przyjmowaniem przez pacjentów idebenonu a stabilizacją/powrotem ostrości wzroku ($p < 0,05$, model regresji jednokrotnej).

W publikacjach Barboni 2013 i Romagnoli 2020 nie odniesiono się do bezpieczeństwa stosowania idebenonu.

Podstawowym ograniczeniem odnalezionych dowodów naukowych jest ich niska jakość metodologiczna i fakt, że dotyczą ogólnej populacji pacjentów, wśród których pacjenci pediatryczni stanowili niewielką grupę. Badanie Barboni 2013 obejmowało jedynie 7 pacjentów, w tym 2 pacjentów pediatrycznych i było badaniem bez grupy kontrolnej. Badanie Romagnoli 2020 obejmowało większą liczbę pacjentów ($N=87$), jednak brak jest informacji o liczbie pacjentów pediatrycznych, a grupa kontrolna była grupą historyczną.

Ponadto należy zwrócić uwagę na zróżnicowane dawkowanie idebenonu w obu badaniach, w tym brak szczegółowych informacji na temat dawkowania u wszystkich włączonych pacjentów pediatrycznych oraz na różny czas trwania obserwacji.

Odnaleziono informacje o planowanym badaniu RCT II fazy, mającym na celu porównać skuteczność idebenonu względem placebo w leczeniu pacjentów z zanikiem nerwu wzrokowego typu 1 (badanie ACTRN12621000826842, rekrutacja do badania jeszcze nie została rozpoczęta).

Odnaleziono dwa dokumenty wytycznych praktyki klinicznej: francuskie zalecenia PNDS 2021 oraz niemieckie wytyczne AWMF 2021.

- Według wytycznych PNDS 2021 dedykowanych autosomalnemu dominującemu zanikowi nerwu wzrokowego (OPA1), aktualnie brak jest skutecznego leczenia poprawiającego ostrość wzroku.
- Wytyczne AWMF 2021, dotyczące dziedzicznych chorób siatkówki, błony naczyniowej i drogi wzrokowej, w tym autosomalnego dominującego zaniku

nerwu wzrokowego, również nie wskazują aktywnej opcji terapeutycznej dla ocenianej jednostki chorobowej. Terapia idebenonem jest zalecana przez wytyczne w innym wskazaniu niż ocenianie - w dziedzicznej neuropatii nerwu wzrokowego Lebera (LHON).

Problem ekonomiczny

Na podstawie danych udostępnionych przez MZ oraz zapisów ustawy o refundacji określono koszt, jaki ponosiłby płatnik publiczny za każde opakowanie produktu Mnesis zrefundowane w procedurze importu docelowego. Z uwagi na stosunkowo niski koszt rocznego stosowania leku Mnesis u jednego pacjenta pediatrycznego stwierdzono niewielki wpływ zgody na refundację na budżet płatnika.

Główne argumenty decyzji

1. Brak dowodów naukowych dotyczących skuteczności ocenianego leku.

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 na potrzeby oceny zasadności wydawania zgody na refundację nr: OT.4211.2.2023 „Mnesis (idebenon) we wskazaniu: zanik nerwu wzrokowego typu 1 u pacjenta pediatrycznego (związany z mutacją w genie OPA1)”; data ukończenia: 17 marca 2023 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 37/2023 z dnia 20 marca 2023 roku
o projekcie programu „Leczenie niepłodności
metodą zapłodnienia pozaustrojowego in vitro dla mieszkańców
Powiatu Kłodzkiego w latach 2023-2025”

Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej "Leczenie niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego in vitro dla mieszkańców Powiatu Kłodzkiego w latach 2023-2025".

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest projekt PPZ przesłany przez Powiat Kłodzki w zakresie leczenia niepłodności, zakładający przeprowadzenie procedury zapłodnienia pozaustrojowego. Populację docelową mają stanowić pary (do 7 lat), w których wiek kobiety wynosi 20-40 lat, zamieszkujące na terenie powiatu kłodzkiego, u których stwierdzono niepłodność kobiety i/lub mężczyzny i wyczerpały się inne możliwości jej leczenia. Okres realizacji programu został wyznaczony na lata 2023-2025, a koszt całkowity programu oszacowano na 225 000 zł. Program finansowany ma być ze środków budżetu powiatu kłodzkiego.

Program dotyczy ważnego problemu zdrowotnego, dotyczącego coraz większej liczby par. W projekcie wskazano na kryteria kwalifikacji, określono zasady kwalifikacji dawców gamet do dawstwa niepartnerskiego oraz procedury adopcji zarodków, odniesiono się do warunków dotyczących personelu, wyposażenia i warunków lokalowych. Nie uwzględniono jednak wielu istotnych kwestii. Nie odniesiono się do kwestii liczby zapładnianych komórek jajowych, liczby transferowanych zarodków oraz zasad przechowywania zarodków. Wnioskodawca nie odniósł się także do kwestii kriokonserwacji oocytów. W ramach leczenia in vitro zasadne jest zamrażanie oocytów, m.in. gdy dana para nie wyraża zgody na mrożenie zarodków. Metoda ta może mieć szczególne znaczenie u pacjentek z chorobami nowotworowymi lub chorobami układowymi, które nie posiadają jeszcze potomstwa lub nie zakończyły planów prokreacyjnych, a u których istotne jest zachowanie zdolności prokreacyjnych i zabezpieczenie ich przed rozpoczęciem leczenia upośledzającego płodność. Generalnie, z uwag zawartych w dotychczasowych opiniach Rady Przejrzystości,

jedynie częściowo uwzględniono zasady zapewnienia zainteresowanym parom sprawiedliwego dostępu do programu - o zakwalifikowaniu do programu będzie decydować kolejność zgłoszeń. W ciągu 3-letniego programu zaplanowano włączenie 21 par. nie określając jednak sposobu prowadzenia rekrutacji. Nie uwzględniono obowiązku szczegółowego informowania beneficjentów o procedurze kriokonserwacji i zasadach jej finansowania, w tym wskazania liczby komórek jajowych poddawanych zapłodnieniu (co pozwala określić liczbę zarodków nadliczbowych poddawanych kriokonserwacji). Nie uwzględniono konieczności ustalenia zasad postępowania z kriokonserwowanymi zarodkami po zakończeniu projektu, na wypadek zakończenia działalności biobanku oraz po upływie 20 lat ustawowego obowiązku kriokonserwacji. Nie uwzględniono również, iż w celu rozwiązania istotnego problemu etycznego, powiązanego z kriokonserwacją zarodków, należy umożliwić parom skorzystanie z opcji zamrażania komórek jajowych, w miejsce zamrażania zarodków. Nie uwzględniono konieczności zapewnienia parom biorącym udział w programie odpowiedniego poradnictwa m.in. w kwestii ryzyka związanego z udziałem w programie. Cel główny Programu - poprawa trendów demograficznych, zwiększenie świadomości zdrowotnej nie został sformułowany prawidłowo. Określenie „poprawa trendów demograficznych” jest zbyt ogólne i nie odnosi się do szacowanej liczby dzieci, które miałyby się urodzić dzięki zrealizowaniu programu lub też liczby uzyskanych ciąż klinicznych. Cele szczegółowe także nie zostały sformułowane prawidłowo - brzmiały ogólnikowo, pokrywają się ze sobą. W żadnym ze wskazanych celów nie określono wartości docelowych. Nieprawidłowo sformułowane są też mierniki efektywności.

W programie nie zaplanowano działań edukacyjnych. Nie jest też jasna kwestia porad u psychologa, zaproponowano jedynie „zapewnienie warunków komfortu psychicznego”.

W ciągu 3 lat trwania programu zaplanowano udział w nim maksymalnie 21 par (do 7 par rocznie). Dofinansowanie 3 procedur zapłodnienia pozaustrojowego dla każdej z 21 par w kwocie 15 000 zł oznaczać będzie wydatek rządu 315 000 zł, a całkowity budżet tego PPZ wynosi 225 000 zł.

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 oceny projektu programu polityki zdrowotnej nr: OT.431.4.2023 „Leczenie niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego in vitro dla mieszkańców Powiatu Kłodzkiego w latach 2023-2025” realizowanego przez Powiat Kłodzki; data ukończenia marzec 2023 oraz aneksu „Programy z zakresu diagnostyki i leczenia niepłodności – wspólne podstawy oceny” z czerwca 2022 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 38/2023 z dnia 20 marca 2023 roku
o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej
w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców Gminy Kobylnica
w wieku 60 lat i więcej na lata 2024-2025”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców Gminy Kobylnica w wieku 60 lat i więcej na lata 2024-2025”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT oraz uwag Rady.

Uzasadnienie

Projekt programu odnosi się do problemu zdrowotnego, jakim jest „rehabilitacja”. Zaproponowany cel główny PPZ to „uzyskanie u co najmniej 15% uczestników programu poprawy w każdym z obszarów, dla których w wykonanych testach wykryto zaburzenia funkcjonalne, dzięki realizacji kompleksowych działań edukacyjnych i rehabilitacyjnych prowadzonych na terenie gminy Kobylnica w latach 2024-2025 wśród mieszkańców dotkniętych problemem urazów, chorób obwodowego układu nerwowego lub chorób układu ruchu”.

Do programu będą włączeni mieszkańcy Gminy Kobylnica w wieku 60 lat i więcej, którzy spełniają kryteria włączenia do programu.

Interwencje to indywidualny plan rehabilitacyjny i edukacja zdrowotna. Interwencje edukacyjne będą realizowane po zakończeniu planu rehabilitacji.

W modelu skoncentrowanym na osobie zwraca się uwagę na m.in. na udzielanie konkretnych informacji opartych na dowodach i zaleceń dotyczących zmiany zachowania oraz wyjaśnienie zasad opieki i leczenia poprzez powiązanie z potrzebami zdrowotnymi danej osoby. Interwencje edukacyjne winny być realizowane w sposób symultaniczny w każdym momencie kontaktu z pacjentem i powtarzane indywidualnie do potrzeb (ACSQHC 2011; Aujoulat i in. 2007; Duggan i in. 2006; Hudon i in. 2012; Makoul i Clayman 2006; Olsson i in. 2013; RNAO 2002, 2006; Smith i in. 2011). Efektywność edukacji potwierdzona w badaniach to edukacja indywidualna, dostosowana do potrzeb klienta/pacjenta z zastosowaniem Modelu 5A (Prochaska). Wskazane w PPZ

spotkania edukacyjne nie mają udowodnionej efektywności co do zmiany postaw w zakresie ćwiczeń.

Program ma być sfinansowany ze środków gminy Kobylica.

Uwagi Rady:

- 1. Wyniki badań wskazują na istotność interwencji edukacyjnych w zwiększeniu skuteczności rehabilitacji. Efektywna edukacja winna być prowadzona na podstawie zindywidualizowanego kompleksowego planu opieki na podstawie zdiagnozowanej wiedzy, w oparciu o przygotowane przez interprofesjonalny zespół przewodniki/protokoły edukacyjne. Dla wzmocnienia efektów należy wykorzystać techniki coachingu zdrowotnego, jak np.: kontakt bezpośredni, sms, chat, rozmowy telefoniczne – mających wpływ efektywność interwencji.*
- 2. W przypadku schorzeń objętych programem ww. interwencje winny być prowadzone co najmniej przez pięć tygodni i dotyczyć udzielanej przez fizjoterapeutę, oraz terapeutę zajęciowego informacji o anatomii, o fizjologii bólu i radzeniu sobie z nim. Ponadto dotyczyć powinny możliwości korzystania z terapii zimnem i ciepłem, wykonywania ćwiczeń fizycznych i propagowania aktywności fizycznej w indywidualnym przypadku, oraz praktycznej demonstracji technik rehabilitacyjnych w warunkach domowych. Ważna jest także demonstracja różnych rodzajów urządzeń ułatwiających funkcjonowanie pacjenta. Podczas wizyty u specjalisty, pielęgniarki i dietetyka, niezbędne jest natomiast także przekazanie informacji o jednostce chorobowej i aktualnych badaniach, lekach, oraz odpowiedniej diecie¹.*

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 oceny projektu programu polityki zdrowotnej nr: OT.431.5.2023 „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców Gminy Kobylnica w wieku 60 lat i więcej na lata 2024-2025” realizowanego przez Gminę Kobylnica; data ukończenia marzec 2023. oraz aneksu: „Programy z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży – wspólne podstawy oceny” z sierpnia 2016 r.

¹ <https://bmcmusculoskeletdisord.biomedcentral.com/articles/10.1186/1471-2474-11-244>