



BP.401.13.2023.MKZ

**Protokół nr 13/2023
z posiedzenia Rady Przejrzystości
w dniu 27 marca 2023 roku
w formie wideokonferencji**

Adam Maciejczyk otworzył posiedzenie o godzinie 10:03

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

1. Dominik Gajewski
2. Maciej Karaszewski
3. Marcin Kołakowski
4. Adam Maciejczyk
5. Tomasz Młynarski
6. Tomasz Pasierski
7. Jakub Pawlikowski
8. Tomasz Romańczyk
9. Janusz Szynkler
10. Anetta Undas

Proponowany porządek obrad:

1. Ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności przesunięcia granicy wieku kwalifikującego do udziału w programie profilaktyki raka piersi oraz zasadności zmiany warunków realizacji i poziomu finansowania.
3. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności przesunięcia granicy wieku kwalifikującego do udziału w programie profilaktyki raka szyjki macicy oraz zasadności zmiany warunków realizacji i poziomu finansowania.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny zasadności zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej „Badanie przesiewowe za pomocą kwestionariusza M-Chat, do diagnozowania nieprawidłowości ze spektrum autyzmu” jako świadczenia gwarantowanego z zakresu podstawowej opieki zdrowotnej.
5. Przygotowanie stanowisk w sprawie oceny zasadności zakwalifikowania świadczeń opieki zdrowotnej:
 - 1) „Badanie nasienia (seminogram)”,
 - 2) „Badanie MAR IgG/IgA (ocena przeciwciał antyplemnikowych)”,jako świadczeń gwarantowanych z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej.
6. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności włączenia do świadczeń gwarantowanych z zakresu zaopatrzenia w wyroby medyczne wydawane na zlecenie:
 - 1) ortez kompresyjnych stosowanych w schorzeniach neurologicznych;

- 2) ortez głowy typu kaski ochronne produkowanych seryjnie w przypadku dzieci z porażeniem mózgowym, ataksją czy spastycznością;
- 3) ortez głowy typu kaski korekcyjne wykonywanych na zamówienie w przypadku deformacji czaszki, plagiocfalii - „skośnogłowia” lub brachycefalii - „płaskogłowia”.
7. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Opdivo (nivolumabum) w ramach programu lekowego B.58. „Leczenie chorych na zaawansowanego raka przełyku i żołądka (ICD-10: C15-C16)”.
8. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Berinert 3000/Berinert 2000 (inhibitor C1-esterazy, ludzki) w ramach programu lekowego „Leczenie zapobiegawcze chorych z nawracającymi napadami dziedzicznego obrzęku naczynioruchowego o ciężkim przebiegu (ICD-10: D 84.1)”.
9. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Tukysa (tucatinibum) w ramach programu lekowego w ramach programu lekowego B.9.FM. „Leczenie chorych na raka piersi (ICD-10: C50)”.
10. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności przeniesienia produktów leczniczych zawierających substancję czynną sorafenibum z programu lekowego B.5 „Leczenie chorych na raka wątrobowokomórkowego (ICD-10: C22.0)” i B.10 „Leczenie pacjentów z rakiem nerki (ICD-10: C64)” do katalogu leków refundowanych w chemioterapii.
11. Przygotowanie opinii w sprawie:
 - 1) zasadności objęcia refundacją, w katalogu leków refundowanych w chemioterapii, produktów leczniczych zawierających substancję czynną sunitinibum we wskazaniach pozarejestacyjnych, dotyczących populacji pediatrycznej objętej obecnie leczeniem w programie lekowy B.8 „Leczenie mięsaków tkanek miękkich (ICD-10 C48, C49)”,
 - 2) zmiany zapisów dla wskazań terapeutycznych dla trabektedyny oraz pazopanibu w programie lekowym B.8. "Leczenie mięsaków tkanek miękkich (ICD-10 C48, C49)" w związku z przeniesieniem sunitynibu z ww. programu do katalogu leków refundowanych w chemioterapii.
12. Przygotowanie opinii w sprawie:
 - 1) zasadności przeniesienia produktów leczniczych zawierających substancję czynną ewerolimusum z programu lekowego B.10 „Leczenie pacjentów z rakiem nerki (ICD-10: C64)” oraz B.53 „Leczenie wysoko zróżnicowanego nowotworu neuroendokrynnego trzustki (ICD-10 C25.4)” do katalogu leków refundowanych w chemioterapii;
 - 2) zasadności objęcia refundacją, w katalogu leków refundowanych w chemioterapii, produktów leczniczych zawierających substancję czynną ewerolimusum we wskazaniu pozarejestacyjnym: nowotwór złośliwy nerki z wyjątkiem miedniczki nerkowej.
13. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „„Program rehabilitacji dla mieszkańców Gminy Żary o statusie miejskim w wieku od 40 r.ż. do 64 r.ż.”.
14. Zakończenie posiedzenia.

Ad 1. Pan Tomasz Romańczyk zgłosił konflikt interesów w zakresie pkt. 7, 8 i podpunktu pierwszego w pkt 11 porządku obrad, w związku z powyższym podczas głosowania jego głos liczony będzie jako wstrzymujący.

Żaden z pozostałych członków Rady nie zadeklarował konfliktu interesów.

Przewodniczący Rady Przejrzystości przedstawił nowego Wiceprezesa Agencji, Pana Daniela Rutkowskiego.

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

Ad 2. Analitycy Agencji podsumowali raport dot. przesunięcia granicy wieku kwalifikującego do udziału w programie profilaktyki raka piersi oraz zasadności zmiany warunków realizacji i poziomu finansowania.

Rada wysłuchała stanowiska przedstawiciela pacjentów, który odpowiedział również na pytania członków Rady.

We wstępnej dyskusji głos zabrali: Adam Maciejczyk, Daniel Rutkowski, Tomasz Pasierski, Maciej Karaszewski i Tomasz Romańczyk.

Projekt opinii Rady przedstawił Tomasz Romańczyk.

W dyskusji i formułowaniu końcowej wersji opinii Rad głos zabrali Adam Maciejczyk oraz Tomasz Romańczyk.

W związku z brakiem innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 8 głosami „za”, przy 2 głosach „przeciw” (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 1 do protokołu).

Ad 3. Analityk Agencji podsumował raport dot. przesunięcia wieku kwalifikującego w programie profilaktyki szyjki macicy oraz zasadności zmiany warunków realizacji i poziomu finansowania.

We wstępnej dyskusji głos zabrali Adam Maciejczyk i Maciej Karaszewski.

Projekt opinii Rady przedstawił Dominik Gajewski.

W dyskusji i formułowaniu finalnej wersji opinii Rady głos zabrali: Dominik Gajewski, Adam Maciejczyk, Maciej Karaszewski,

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

Ad 4. Analityk Agencji omówił najważniejsze informacje z raportu w sprawie oceny zasadności zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej „Badanie przesiewowe za pomocą kwestionariusza M-Chat, do diagnozowania nieprawidłowości ze spektrum autyzmu” jako świadczenia gwarantowanego z zakresu podstawowej opieki zdrowotnej.

We wstępnej dyskusji głos zabrali: Janusz Szyndler, Adam Maciejczyk, Maciej Karaszewski, Tomasz Pasierski oraz Marcin Kołakowski.

Projekt stanowiska Rady przedstawił Jakub Pawlikowski.

W dyskusji głos zabrali: Adam Maciejczyk, Tomasz Pasierski, Jakub Pawlikowski i Anetta Undas.

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

Ad 5. Analityk Agencji streścił raport w sprawie oceny zasadności zakwalifikowania świadczeń opieki zdrowotnej: „Badanie nasienia (seminogram)” oraz „Badanie MAR IgG/IgA (ocena przeciwciał antyplemnikowych)”, jako świadczeń gwarantowanych z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej.

Projekty stanowisk Rady przedstawił Tomasz Młynarski.

W dyskusji głos zabrali: Jakub Pawlikowski, Tomasz Młynarski, Janusz Szyndler, Adam Maciejczyk i Tomasz Romańczyk.

W związku z brakiem innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego:

- 1) Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywne stanowisko w sprawie zasadności zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej: „Badanie nasienia (seminogram)” jako świadczenia gwarantowanego z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej (załącznik nr 4 do protokołu),
- 2) Rada jednogłośnie 9 głosami „za”, przy 1 głosie „przeciw” (10 osób obecnych) uchwaliła negatywne stanowisko w sprawie zasadności zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej: „Badanie MAR IgG/IgA (ocena przeciwciał anntyplemnikowych)” jako świadczenia gwarantowanego z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej (załącznik nr 5 do protokołu)

Ad 6. Analityk Agencji omówił najważniejsze informacje z raportów dot. zasadności włączenia do świadczeń gwarantowanych z zakresu zaopatrzenia w wyroby medyczne wydawane na zlecenie ortez kompresyjnych stosowanych w schorzeniach neurologicznych; ortez głowy typu kaski ochronne produkowanych seryjnie w przypadku dzieci z porażeniem mózgowym, ataksją czy spastycznością oraz ortez głowy typu kaski korekcyjne wykonywanych na zamówienie w przypadku deformacji czaszki, plagiocefalii - „skośnogłowia” lub brachycefalii - „płaskogłowia”.

Projekty opinii Rady przedstawił Maciej Karaszewski.

W dyskusji głos zabrali: Janusz Szyndler, Tomasz Pasierski, Adam Maciejczyk, Jakub Pawlikowski, Anetta Undas, Marcin Kołakowski i Maciej Karaszewski.

W związku z brakiem innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego:

- 1) Rada 7 głosami „za”, przy 3 głosach „przeciw” (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię w sprawie zasadności włączenia do świadczeń gwarantowanych z zakresu zaopatrzenia w wyroby medyczne wydawane na zlecenie ortez kompresyjnych stosowanych w schorzeniach neurologicznych (załącznik nr 6 do protokołu).
- 2) Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię w sprawie zasadności włączenia do świadczeń gwarantowanych z zakresu zaopatrzenia w wyroby medyczne wydawane na zlecenie ortez głowy typu kaski ochronne produkowanych seryjnie w przypadku dzieci z porażeniem mózgowym, ataksją czy spastycznością (załącznik nr 7 do protokołu).
- 3) Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła negatywną opinię w sprawie zasadności włączenia do świadczeń gwarantowanych z zakresu zaopatrzenia w wyroby medyczne wydawane na zlecenie ortez głowy typu kaski korekcyjne wykonywanych na zamówienie w przypadku deformacji czaszki, plagiocefalii - „skośnogłowia” lub brachycefalii - „płaskogłowia” (załącznik nr 8 do protokołu).

Ad 7. Analityk Agencji streścił raport w sprawie leku Opdivo (wniosek refundacyjny) w ramach programu lekowego dot. leczenia zaawansowanego raka przełyku i żołądka.

We wstępnej dyskusji uczestniczyli: Marcin Kołakowski, Janusz Szyndler, Maciej Karaszewski i Tomasz Pasierski.

Rada wysłuchiwała stanowisk przedstawiciela pacjentów oraz eksperta, którzy odpowiedzieli także na pytania członków Rady.

Projekt stanowiska Rady przedstawił Marcin Kołakowski.

W dyskusji i formułowaniu końcowej wersji stanowiska głos zabrali: Adam Maciejczyk, Maciej Karaszewski, Anetta Undas i Marcin Kołakowski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 9 głosami „za”, przy 1 głosie wstrzymującym z uwagi na zgłoszony konflikt interesów (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 9 do protokołu).

Ad 8. Analityk Agencji podsumował raport w sprawie leku Berinert (wniosek refundacyjny) w ramach programu lekowego dot. leczenia zapobiegawczego chorych z nawracającymi napadami dziedzicznego obrzęku naczynioruchowego o ciężkim przebiegu.

Rada wysłuchiwała stanowiska przedstawiciela pacjentów, który odpowiedział także na pytania członków Rady.

We wstępnej dyskusji głos zabrali: Anetta Undas, Tomasz Romańczyk, Adam Maciejczyk, Janusz Szyndler i Maciej Karaszewski.

Projekt stanowiska Rady przedstawiła Anetta Undas.

W związku z brakiem innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 8 głosami „za”, przy 1 głosie „przeciw” oraz przy 1 głosie wstrzymującym z uwagi na zgłoszony konflikt interesów (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 10 do protokołu).

Ad 9. Analityk Agencji streścił raport w sprawie leku Tukysa (wniosek refundacyjny) w ramach programu lekowego dot. leczenia chorych na raka piersi.

Rada wysłuchiwała stanowisk przedstawiciela pacjentów oraz eksperta.

Projekt stanowiska Rady przedstawił Janusz Szyndler.

W dyskusji głos zabrali: Adam Maciejczyk, Janusz Szyndler i Tomasz Pasiński.

W związku z brakiem innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 11 do protokołu).

Ad 10. Analityk Agencji zaprezentował podsumowanie raportu dot. przeniesienia produktów leczniczych zawierających substancję czynną sorafenibum z programu lekowego B.5 „Leczenie chorych na raka wątrobowokomórkowego (ICD-10: C22.0)” i B.10 „Leczenie pacjentów z rakiem nerki (ICD-10: C64)” do katalogu leków refundowanych w chemioterapii.

Projekt opinii Rady przedstawił Tomasz Romańczyk.

W związku z brakiem głosów w dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 12 do protokołu).

Ad 11. Analityk Agencji streścił najważniejsze informacje w sprawach dot. zasadności objęcia refundacją, w katalogu leków refundowanych w chemioterapii, produktów leczniczych zawierających substancję czynną sunitinibum we wskazaniach pozarejestacyjnych, dotyczących populacji pediatrycznej objętej obecnie leczeniem w programie lekowy B.8. oraz zmiany zapisów dot. wskazań terapeutycznych dla trabectedyny oraz pazopanibu w programie lekowym B.8. w związku z przeniesieniem sunitynibu z ww. programu do katalogu leków refundowanych w chemioterapii.

Projekty opinii Rady przedstawił Adam Maciejczyk.

Pani Anetta Undas w trakcie posiedzenia zgłosiła konflikt interesów w zakresie podpunktu pierwszego pkt. 11 porządku obrad, w związku z powyższym podczas głosowania jej głos liczony będzie jako wstrzymujący.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego:

- 1) Rada 8 głosami „za”, przy 2 głosach wstrzymującym z uwagi na zgłoszony konflikt interesów (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię w sprawie zmiany zasadności objęcia refundacją, w katalogu leków refundowanych w chemioterapii, produktów leczniczych zawierających substancję czynną sunitinibum we wskazaniach pozarejestacyjnych, dotyczących populacji pediatrycznej objętej obecnie leczeniem w programie lekowy B.8 „Leczenie mięsaków tkanek miękkich (ICD-10 C48, C49)” (załącznik nr 13 do protokołu),
- 2) Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię w sprawie zmiany zapisów dla wskazań terapeutycznych dla trabectedyny oraz pazopanibu w programie lekowym B.8. „Leczenie mięsaków tkanek miękkich (ICD-10 C48, C49)” w związku z przeniesieniem sunitynibu z ww. programu do katalogu leków refundowanych w chemioterapii (załącznik nr 14 do protokołu),

Ad 12. Analityk Agencji omówił najważniejsze informacje w sprawach dot. zasadności przeniesienia produktów leczniczych zawierających substancję czynną ewerolimusum z programu lekowego B.10 oraz B.53 do katalogu leków refundowanych w chemioterapii oraz zasadności objęcia refundacją, w katalogu leków refundowanych w chemioterapii, produktów leczniczych zawierających substancję czynną ewerolimusum we wskazaniu pozarejestacyjnym: nowotwór złośliwy nerki z wyjątkiem miedniczki nerkowej.

Projekty opinii Rady przedstawił Tomasz Pasierski.

W związku z brakiem głosów w dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego:

- 3) Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię w sprawie zasadności przeniesienia produktów leczniczych zawierających substancję czynną ewerolimusum z programu lekowego B.10 „Leczenie pacjentów z rakiem nerki (ICD-10: C64)” oraz B.53 „Leczenie wysoko zróżnicowanego nowotworu neuroendokrynnego trzustki (ICD-10 C25.4)” do katalogu leków refundowanych w chemioterapii (załącznik nr 15 do protokołu),
- 4) Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię w sprawie zasadności objęcia refundacją, w katalogu leków refundowanych w chemioterapii, produktów leczniczych zawierających substancję czynną ewerolimusum we wskazaniu pozarejestacyjnym: nowotwór złośliwy nerki z wyjątkiem miedniczki nerkowej (załącznik nr 16 do protokołu).

Ad 13. Analityk Agencji omówił projekt programu polityki zdrowotnej gminy Żary z zakresu rehabilitacji, a projekt opinii Rady przedstawił Dominik Gajewski.

W dyskusji głos zabrali: Maciej Karaszewski, Adam Maciejczyk, Tomasz Pasierski i Dominik Gajewski.

W związku z brakiem innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 17 do protokołu).

Ad 14. Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 16:16.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 39/2023 z dnia 27 marca 2023 roku
w sprawie zasadności wprowadzenia zmian
w programie profilaktyki raka piersi

Rada Przejrzystości uważa za zasadne przesunięcie granicy wieku, zmianę zasad kwalifikacji i poziomu finansowania w programie profilaktyki raka piersi.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Badanie USG oraz mammografia (MMG), w tym mammografia cyfrowa z komputerową analizą obrazu i ewentualnie użyciem środka kontrastowego (mammografia spektralna) oraz tomosynteza, które cechuje się przede wszystkim większą swoistością i umożliwia zmniejszenie liczby badań uzupełniających oraz biopsji są obecnie standardowymi badaniami obrazowymi w diagnostyce raka piersi. U chorych po zabiegach oszczędzających lub odtwórczych, u których ocena radiologiczna jest szczególnie trudna, coraz częściej stosuje się MR.

Program profilaktyki raka piersi obecnie dotyczy kobiet wieku 50–69 lat. W ramach badań podstawowych wykonywana jest mammografia skryningowa obu piersi (każdej piersi w dwóch projektach). Badania wykonuje się co 24 miesiące u kobiet w wieku od 50 do 69 lat i co 12 miesięcy u kobiet w wieku od 50 do 69 lat u których wystąpił rak piersi wśród członków rodziny (u matki, siostry lub córki) lub mutacje w obrębie genów BRCA 1 lub BRCA 2.

Proponowane zmiany w programie dotyczą rozszerzenie granicy wieku do udziału w programie: niższą dolną granicę wieku wynoszącą 45 lat i górną granicę wieku wynoszącą 74 lata, przy czym w grupach wiekowych 44–49 lat (niska jakość dowodów) oraz 70–74 lata (umiarkowana jakość dowodów) sugerowane jest wykonywanie przesiewowej MMG co 2–3 lata.

Ponadto w odniesieniu do częstotliwości wykonywania mammografii w etapie podstawowym co 12 miesięcy u kobiet w wieku od 50 do 69 lat, u których wystąpił rak piersi wśród członków rodziny (u matki, siostry lub córki) lub mutacje w obrębie genów BRCA 1 lub BRCA 2 usunięcie z warunków Programu wykonywania mammografii skryningowej co 12 miesięcy u kobiet z czynnikami wysokiego ryzyka, u których zalecane jest (rekomenacje ESMO 2019 i NICE 2019) stosowanie rezonansu magnetycznego co roku wraz z coroczną

mammografią (łącznie lub osobno) oraz kierowanie kobiet z czynnikami wysokiego ryzyka do Programu „Opieki nad rodzinami wysokiego, dziedzicznie uwarunkowanego ryzyka zachorowania na raka piersi”.

W ramach interwencji wykonywanych na etapie pogłębionej diagnostyki, u kobiet, u których stwierdzono nieprawidłowości podczas badania mammograficznego lub USG lub rezonansu magnetycznego, zastąpienie biopsji cienkoigłowej biopsją gruboigłową (usunięcie ze świadczenia biopsji cienkoigłowej).

W odniesieniu do warunków wymaganych od świadczeniodawców proponuje się stosowanie do badań przesiewowych mammografów cyfrowych i fantomów do kontroli jakości obrazowania w mammografii cyfrowej w celu zwiększenia jakości pracowni mammograficznych i opisywanych zdjęć mammograficznych.

Dowody naukowe

W Polsce w 2016 roku zgłoszono 24,1 tys. przypadków nowotworów piersi. Współczynnik zapadalności rejestrowanej wynosił 62,8/100 tys. W mapach potrzeb zdrowotnych (2018 r.) wskazano, że szczyt zapadalności przypada na grupę wiekową 65+ (160,9/100 tys.), w tym w 2021 na 100 tys. kobiet w wieku 75-79 odnotowano 217,2 nowych zachorowań. W grupie 54–64 lat zapadalność wyniosła 118,1/100 tys. Wg danych KRN liczba zgonów z powodu raka piersi wyniosła 6 895 kobiet w 2018 roku, a w przypadku mężczyzn było to 75 zgonów.

Zalecenie Rady Unii Europejskiej w sprawie wzmocnienia profilaktyki poprzez wczesne wykrywanie: nowe podejście UE do badań przesiewowych w kierunku raka zastępujące zalecenie Rady 2003/878/WE w zakresie prowadzenia badań przesiewowych w kierunku wykrywania raka piersi zawiera zalecenie badania przesiewowego w kierunku raka piersi u kobiet w wieku 50–69 lat przeprowadzanego za pomocą mammografii (wysoka jakość dowodów, przedstawione w europejskich wytycznych). Sugeruje się niższą dolną granicę wieku wynoszącą 45 lat (niska jakość dowodów) i górną granicę wieku wynoszącą 74 lata (umiarkowana jakość dowodów) oraz stosowanie cyfrowej tomosyntezy piersi lub mammografii cyfrowej. Należy rozważyć stosowanie obrazowania metodą rezonansu magnetycznego (MRI), w przypadku gdy jest to medycznie uzasadnione (niska jakość dowodów).

Ponadto w powyższym dokumencie zwraca się uwagę na następujące aspekty realizacji badań przesiewowych jakimi są: wdrażanie programów badań przesiewowych, rejestrowanie danych pochodzących z badań przesiewowych i zarządzanie nimi, monitorowanie, szkolenie, uczestnictwo, wprowadzenie nowych badań przesiewowych uwzględniających wyniki badań międzynarodowych oraz sprawozdanie z wdrażania programów i działania następcze.

Rekomendacje są zgodne, że najlepszą metodą prowadzenia badań przesiewowych w kierunku wykrycia raka piersi jest mammografia (ACS 2021, NCI 2021, PTOK 2020, ACP 2019, ESMO 2019, NICE 2019, SEOM 2019, ACR 2018, CTFPHC 2018, RACGP 2018, ACOG 2017, JRG 2016, USPSTF 2016, EUSOMA 2012, ACOG 2011). Część wytycznych wskazuje na zasadność stosowania mammografii z tomosyntezą (NCCN 2021, ECIBC 2020/2021).

Znaczna część wytycznych pozytywnie odnosi się do wykonywania mammografii w populacji kobiet między 50 a 74 r.ż. (ACP 2019, SEOM 2019, ACP 2019, ESMO 2019, CTFPHC 2018, ACOG 2017, USPSTF 2016, EUSOMA 2012). Zgodnie z częścią wytycznych przesiewowe badania mammograficzne powinny być rutynowo wykonywane u kobiet w wieku 50–69 lat, optymalnie co 24 miesiące (ECIBC 2020/2021, PTOK 2020, ESMO 2019, SEOM 2019, CTFPHC 2018). Należy jednak podkreślić, że część rekomendacji nie zaleca prowadzenia badań przesiewowych u kobiet w wieku poniżej 50 lat (CTFPHC 2018, PTOK 2020) lub poniżej 45 lat (ECIBC 2020/2021, SEOM 2019).

Na podstawie dostępnych dowodów nie wykazano istotnego statystycznie wpływu prowadzenia badań mammograficznych u kobiet w wieku 70–74 lat na zmniejszenie prawdopodobieństwa zgonu z powodu raka piersi lub zgonu z innej przyczyny – RR=0,77 [95%CI: (0,54; 1,09)], RR=1,01 [95%CI: (0,91; 1,10)] (Canelo-Aybar 2021) lub prawdopodobieństwa zgonu z powodu raka piersi – RR=1,12 [95%CI: (0,73; 1,72)] (Myers 2015), natomiast stwierdzono istotne statystycznie zmniejszenie ryzyka wystąpienia raka piersi w stadium IIA lub wyższym oraz raka piersi w stadium III (lub rozmiar guza ≥ 40 mm) w przypadku prowadzenia badań mammograficznych u kobiet w wieku 70–74 lat – RR=0,64 [95%CI: (0,55; 0,73)], RR=0,63 [95%CI: (0,45; 0,89)] (Canelo-Aybar 2021).

Wyniki fałszywie dodatnie badań są powszechne i w przypadku corocznych badań przesiewowych są częstsze (Nelson 2016, Myers 2015) niż w przypadku wykonywania MMG co dwa lata. Badanie Canelo-Aybar 2021 prezentuje również istotne statystycznie wyniki wskazujące na to, że naddiagnoza (nadrozpoznawalność) jest bardziej powszechna u kobiet poniżej 50 roku życia niż w wieku 50–69 lat (12,4% vs 10,1% w perspektywie populacji; 22,7% vs 17,3% w perspektywie indywidualnej).

Problem ekonomiczny

Liczba osób biorących udział w Programie badań przesiewowych raka piersi w ujęciu 2 lat wyniesie od 2 025 380 (populacja aktualna wiek 50–69 lat) do 3 044 498 (populacja docelowa wiek 45–74 lat). Koszt dla NFZ finansowania programu w ujęciu 2 lat, przy uwzględnieniu powyższej populacji wyniesie od 180 mln zł (wiek 50–69 lat) do 289 mln zł (wiek 45–74 lat).

Główne argumenty decyzji

1. Znaczna część wytycznych pozytywnie odnosi się do wykonywania mammografii w populacji kobiet między 50 a 74 r.ż. (ACP 2019, SEOM 2019, ACP 2019, ESMO 2019, CTFPHC 2018, ACOG 2017, USPSTF 2016, EUSOMA 2012).
2. W mapach potrzeb zdrowotnych (2018 r.) wskazano, że szczyt zapadalności przypada na grupę wiekową 65+ (160,9/100 tys.), w tym w 2021 na 100 tys. kobiet w wieku 75-79 odnotowano 217,2 nowych zachorowań na raka piersi.
3. Potwierdzeniem zasadności zastąpienia biopsji cienkoigłowej biopsją gruboigłową są wskazania wytycznych PTOK 2020, zgodnie z którymi, jeśli planowane jest wstępne leczenie systemowe, należy zawsze wykonać biopsję gruboigłową lub otwartą z określeniem typu histologicznego, stopnia złośliwości, stanu ER, PgR, HER2 i Ki67 (IV, A).
4. Zasadne jest (zgodnie z założeniami i celami NSO) stosowanie do badań przesiewowych mammografów cyfrowych i fantomów do kontroli jakości obrazowania w mammografii cyfrowej w celu zwiększenia jakości pracowni mammograficznych i opisywanych zdjęć mammograficznych.

Uwagi Rady:

Konieczne jest pozyskanie wiarygodnych danych dotyczących efektywności klinicznej prowadzonego dotychczas badania przesiewowego raka piersi.

Konieczne jest prospektywne monitorowanie programu.

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.422.7.2023 „Opracowanie dotyczące oceny zasadności przesunięcia granicy wieku kwalifikującego do udziału w programie badań profilaktycznych, weryfikacji zasad realizacji i poziomu finansowania programu profilaktyki raka piersi”; data ukończenia 23 marca 2023 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia przedstawiciela pacjentów przedstawiona w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 40/2023 z dnia 27 marca 2023 roku
w sprawie zasadności przesunięcia wieku kwalifikującego w
programie profilaktyki raka szyjki macicy (RSzM) oraz zasadności
zmiany warunków realizacji i poziomu finansowania.

Rada Przejrzystości uważa za zasadne wdrożenie zmian w aktualnie obowiązującym programie profilaktycznym RSzM w zakresie przesunięcia wieku kwalifikującego w programie profilaktyki raka szyjki macicy (RSzM) do 64 roku życia.

Z uwagi na trwający aktualnie Pilotaż zastosowania badania molekularnego kierunku wirusa brodawczaka ludzkiego wysokiego ryzyka (hpv hr) jako nowego testu przesiewowego w programie profilaktyki raka szyjki macicy w Polsce, do czasu opublikowania jego wyników, nie rozpatruje się innych scenariuszy wiążących się ze zmianą zakresu badań realizowanych w ramach programu.

W aktualnym stanowisku Rada odnosi się wyłącznie do problemu przesunięcia górnej granicy wieku kwalifikacji do programu profilaktycznego z 59 do 64 r.ż.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Rak szyjki macicy (ICD10: C53 – Nowotwór złośliwy szyjki macicy, RSzM) jest pierwszym spośród nowotworów występujących u ludzi, którego czynniki ryzyka zidentyfikowano jako konieczne do jego rozwoju. Jest nim HPV o wysokim potencjale rakotwórczym, przenoszone drogą płciową i wywołujące przewlekłe zakażenie. Inne czynniki ryzyka obejmują: wiek między 45 a 55 r.ż., liczne porody, niski status socjoekonomiczny, niewłaściwą dietę (ubogą w witaminę C), obecność nowotworu w rodzinie (KRN 2014).

Celem działań profilaktycznych jest:

- profilaktyka pierwotna: celem profilaktyki pierwotnej jest zmniejszenie zachorowalności na RSzM poprzez unikanie czynników ryzyka lub zwiększenie indywidualnej odporności na te czynniki. Jej elementami są więc: edukacja i kształtowanie zachowań prozdrowotnych oraz szczepienia ochronne;*
- profilaktyka wtórna: ma na celu wykrywanie raka we wczesnym stadium, gdy leczenie jest skuteczniejsze, wskaźniki przeżycia wyższe, a częstość poważnych*

następstw choroby (w tym zgonu) mniejsza. W stosunku do RSzM zadanie to spełniają populacyjne badania przesiewowe (skryning).

Za najlepszą strategię w profilaktyce RSzM uważa się szczepienie młodych kobiet i kontynuowanie badań przesiewowych u zaszczepionych i nieszczepionych.

Zgodnie z danymi Krajowego Rejestru Nowotworów, w latach 2008-2018, RSzM był w Polsce siódmym co do częstości nowotworem złośliwym występującym wśród kobiet (po raku sutka, oskrzela i płuca, skóry, trzonu macicy, jelita grubego oraz jajnika). RSzM odpowiadał w badanym okresie za 3,7% zachorowań na nowotwory złośliwe u kobiet ogółem.

Najwięcej zachorowań występuje między 45. a 64. rokiem życia. Ryzyko zachorowania RSzM wzrasta z wiekiem do końca szóstej dekady życia, po czym zmniejsza się w starszych grupach wiekowych. Zachorowalność na RSzM w ciągu ostatnich trzech dekad zmniejszyła się o około 30%.

W odniesieniu do wskaźników umieralności, RSzM w latach 2008-2018 stanowił ósmą, co do częstości przyczynę śmierci z powodu nowotworów złośliwych wśród kobiet w Polsce, odpowiadając za 3,9% zgonów z tego powodu (po nowotworach złośliwych oskrzela i płuca, sutka, jelita grubego, jajnika, trzustki, nowotworach złośliwych bez określenia umiejscowienia oraz raku żołądka). Większość zgonów z powodu RSzM występuje między 50 a 69 r.ż. Ryzyko zgonu z powodu tego nowotworu systematycznie wzrasta wraz z przechodzeniem do starszych grup wiekowych.

Dowody naukowe

W ramach prac nad przedmiotowym zleceniem, Agencja zwróciła się z prośbą o opinię ekspercką w sprawie proponowanych zmian w programie profilaktycznym raka szyjki macicy do 14 ekspertów z następujących dziedzin: ginekologia onkologiczna, położnictwo i ginekologia, pielęgniarstwo onkologiczne, pielęgniarstwo ginekologiczne i położnicze, patomorfologia oraz medycyna rodzinna.

Eksperci byli zgodni odnośnie zmiany kryteriów kwalifikacji kobiet do programu – zwiększenie górnej granicy wieku do 64 lat;

Wyniki 2 odnalezionych badań (Castanon 2021, Wang 2017):

- górna granica wieku kobiet kwalifikowanych do badań profilaktycznych powinna być uzależniona od wcześniejszego udziału w badaniach profilaktycznych i ich wyników,
- wykonywanie badań cytologicznych u kobiet w wieku 61-65 lat było związane ze statystycznie istotnym zmniejszeniem ryzyka późniejszego rozwoju raka

szyjki macicy u kobiet, które nie były wcześniej (50-59 lat) poddane badaniom lub miały nieprawidłowe wyniki badań wykonanych w wieku 50-59 lat.

Główne argumenty decyzji

Uzyskane dowody potwierdziły zasadność zmiany kryteriów kwalifikacji kobiet do programu – zwiększenie górnej granicy wieku do 64 lat.

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.4220.7.2021 / WS.4220.14.2022 „Opracowanie dotyczące oceny zasadności przesunięcia górnej granicy wieku kwalifikującego do udziału w programie badań profilaktycznych, weryfikacji zasad realizacji i poziomu finansowania programu profilaktyki raka szyjki macicy”; data ukończenia 24 marca 2023 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 32/2023 z dnia 27 marca 2023 roku
w sprawie zasadności kwalifikacji świadczenia opieki zdrowotnej
„Badanie przesiewowe za pomocą kwestionariusza M-Chat, do
diagnozowania nieprawidłowości ze spektrum autyzmu” jako
świadczenia gwarantowanego

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „Badanie przesiewowe za pomocą kwestionariusza M-Chat, do diagnozowania nieprawidłowości ze spektrum autyzmu” jako świadczenia gwarantowanego.

Jednocześnie Rada Przejrzystości uznaje za zasadne rozszerzenie badań bilansu zdrowia dziecka w drugim roku życia o ocenę rozwoju psychospołecznego oraz zaburzeń w tym zakresie.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Zaburzenia ze spektrum autyzmu (ang. autism spectrum disorders, ASD) uznawane są za grupę złożonych nieprawidłowości neurorozwojowych, charakteryzujących się znacznymi trudnościami w interakcjach społecznych i komunikowaniu się, a także występowaniem ograniczonych, powtarzanych, stereotypowych wzorców zachowania i zainteresowań. Aktualne dane epidemiologiczne wskazują na to, że ASD dotyczy co najmniej 1% osób w populacji ogólnej, a liczba osób z tą diagnozą systematycznie wzrasta [APA 2013, Banasiak 2010]. Według raportu NIK „Wsparcie osób z autyzmem i zespołem Aspergera w przygotowaniu do samodzielnego funkcjonowania” z 2019 roku, w roku szkolnym 2018/2019 z kształcenia specjalnego w szkołach i przedszkolach korzystało 54,4 tys. dzieci z autyzmem lub zespołem Aspergera. Objawy autyzmu najczęściej pojawiają się w okresie poniemowlęcym i wczesnoszkolnym.

Problem decyzyjny dotyczy włączenia w zakres świadczeń POZ badania realizowanego za pomocą kwestionariusza M-Chat w kierunku zaburzeń ze spektrum autyzmu w ramach badań bilansu zdrowia w wieku 2 lat. Przedmiotowy kwestionariusz stanowi jedno z wielu narzędzi wykorzystywanych

do wczesnego wykrywania ASD u małych dzieci i jest bezpłatnie dostępny w języku polskim.

Aktualnie badania bilansowe w drugim roku życia dziecka nie obejmują oceny rozwoju psychospołecznego i nie przewidują stosowania narzędzi do diagnozowania zaburzeń ze spektrum autyzmu. Badanie w wieku 2 lat obejmuje oceny rozwoju fizycznego, natomiast ocena rozwoju psychospołecznego stanowi element badania bilansowego dzieci dopiero w trzeciej klasie szkoły podstawowej oraz na późniejszych etapach edukacji. W tej sytuacji pacjenci z podejrzeniem zaburzeń (niekiedy stwierdzonych poza publicznym systemem opieki zdrowotnej) trafiają do ośrodków środowiskowej opieki psychologicznej i psychoterapeutycznej dla dzieci i młodzieży w celu potwierdzenia wstępnej diagnozy. W oparciu o dane sprawozdawczo-rozliczeniowe za lata 2014–2021, na podstawie populacji siedmiolatków, można wnioskować, że 32% pacjentów otrzymuje diagnozę przed ukończeniem 3 roku życia, a pozostałe 68% pacjentów w wieku 3–7 lat.

Dowody naukowe

Nie odnaleziono wysokiej jakości dowodów naukowych na skuteczność wczesnej terapii w zakresie istotnych punktów końcowych. W oparciu o dane uzyskane z analizy klinicznej można szacować odsetek wszystkich uzyskanych z badania M-Chat wyników dodatnich na 15%. Dane z analizy Brytyjskiego Narodowego Komitetu ds. Badań Przesiewowych oraz opinia Konsultanta Krajowego w dziedzinie psychiatrii dzieci i młodzieży wskazują jednak, że wśród dzieci z dodatnim wynikiem badania M-Chat poza pacjentami z ASD znajdują się również pacjenci z innymi rodzajami zaburzeń rozwojowych (jak również istnieje ryzyko wyników fałszywie pozytywnych), dlatego istotna jest szersza diagnostyka dziecka w kierunku różnych zaburzeń rozwoju psychospołecznego.

W ramach przeglądu literatury nie odnaleziono dowodów naukowych potwierdzających przewagę kwestionariusza M-Chat nad innymi dostępnymi narzędziami. Zarówno wytyczne praktyki klinicznej jak i przeglądy systematyczne wskazują na szereg możliwych do wykorzystania kwestionariuszy, przy czym żaden z nich nie został wskazany jako preferowany. W publikacji Więckowski 2023 wskazano na wysoką trafność badania przy użyciu kwestionariusza M-Chat jako testu przesiewowego w kierunku zaburzeń ze spektrum autyzmu (czułość 82%- 83%, swoistość 84%-99%), podkreśla się jednak, że dodatni wynik badania musi być potwierdzony dalszą diagnostyką, przy uwzględnieniu diagnostyki różnicowej innych zaburzeń rozwojowych. W badaniu wtórnym Levy 2020 oceniano parametry narzędzi diagnostycznych w badaniach przesiewowych w kierunku zaburzeń ASD w populacji ogólnej dzieci w 24-36 m. ż. w podstawowej opiece zdrowotnej, w tym: M-Chat (The Modified Checklist for Autism in Toddlers), M-Chat-R/F (Modified Checklist for Autism in Toddlers, Revised with Follow-Up), ITC (Infant-Toddler Checklist), PDQ1 (Psychological

Development Questionnaire-1), SCQ (Social Communication Questionnaire). Wyniki parametrów diagnostycznych dla zidentyfikowanych kwestionariuszy były porównywalne. W chwili obecnej narzędzia M-Chat oraz M-Chat-R/F to jedyne zidentyfikowane w przeglądzie kwestionariusze, które są zwalidowane na język polski oraz są bezkosztowe w użytkowaniu, ale należy założyć, że w nieodległej przyszłości mogą pojawić się inne narzędzia użyteczne w badaniach w polskiej populacji pediatrycznej.

Wytyczne praktyki klinicznej zalecają przeprowadzanie oceny ryzyka wystąpienia zaburzeń ze spektrum autyzmu przez lekarza podczas wizyt kontrolnych. Zależnie od dokumentu jest to określane jako screening lub jako element rutynowej opieki lekarskiej. W wytycznych SIGN 2016 i NZMDP 2022 wskazane jest, aby lekarz regularnie omawiał z opiekunami prawidłowość rozwoju dziecka zwracając uwagę na cechy wskazujące na ASD. Wytyczne NICE wskazują na konieczność oceny ryzyka ASD przez lekarza prowadzącego dziecko w ramach rutynowych wizyt kontrolnych. Większość odnalezionych wytycznych (AACAP 2014, NHMRC 2018, NYSDH 2017) zaleca stosowanie badań przesiewowych. Większość wytycznych podkreśla jednocześnie, że nie można jednoznacznie określić potrzeby skierowania dziecka na dalszą diagnostykę ASD wyłącznie na podstawie wyniku kwestionariusza do badań przesiewowych, a ocenę powinien przeprowadzić lekarz, biorąc pod uwagę pełen obraz kliniczny. Jednocześnie we wszystkich rekomendacjach podkreślono wpływ wczesnego rozpoznania i rozpoczęcia terapii na uzyskanie lepszych efektów leczenia. Dokument NYSDH 2017 zaleca przynajmniej dwa badania: w wieku 18 miesięcy oraz między 24 a 30 m.ż., natomiast NZMDP 2022 co najmniej trzy: w wieku 8-12 miesięcy, 2-3 lat oraz 4-5 lat. Wszystkie wytyczne wskazują, że uzyskanie pierwszego wyniku ujemnego w badaniu przesiewowym lub stwierdzenie braku oznak ASD w wywiadzie, nie zwalnia z konieczności przeprowadzenia badań/wywiadu podczas kolejnych wizyt kontrolnych. Uzyskane opinie ekspertów wskazują na zasadność prowadzenia oceny rozwoju psychospołecznego dziecka w wieku 2 lat.

Problem ekonomiczny

W przypadku wprowadzenia badania przesiewowego ASD przy użyciu narzędzia M-Chat nie zakłada się wzrostu kosztów jednostkowych świadczenia, ani wzrostu liczby pacjentów objętych dotychczasowymi świadczeniami w zakresie podstawowej opieki zdrowotnej. Wprowadzenie świadczenia jako elementu bilansu zdrowia spowoduje, że realizacja odbywać się będzie w sposób komplementarny do obecnie finansowanego świadczenia. W związku z tym, iż narzędzie M-Chat jest procedurą bezkosztową, nie generującą kosztów związanych z zakupem licencji, użytkowania i rozpowszechniania, wprowadzenie świadczenia jako elementu bilansu zdrowia nie wpłynie na koszt realizacji świadczeń z zakresu podstawowej opieki zdrowotnej.

Zakładany odsetek uzyskanych wyników dodatnich badania (15% populacji) może wpłynąć na zwiększone obciążenie ośrodków środowiskowej opieki psychologicznej i psychoterapeutycznej dla dzieci i młodzieży (I poziom referencyjności). Biorąc pod uwagę, liczbę sprawozdanych zrealizowanych bilansów zdrowia w wieku 2 lat, wynoszących 80 658 w roku 2021 oraz przyjmując arbitralne założenie, iż 15% pacjentów wymagać będzie dalszej diagnostyki w ośrodku I stopnia referencyjnego systemu ochrony zdrowia psychicznego dzieci i młodzieży, do podmiotów tych trafiłoby rocznie 12 098 pacjentów. Przy liczbie poradni (dane sprawozdawczo-rozliczeniowe za 2021 r.) wynoszącej 381, można szacować średnio rocznie 32 nowych pacjentów przypadających na jeden podmiot. Przy obecnym obciążeniu podmiotów (120 283 pacjentów na 381 ośrodków – średnio 315 świadczeniobiorców rocznie na ośrodek) – można szacować średnie zwiększenie obciążenia ośrodka o 10% w skali roku.

Badanie przesiewowe w kierunku zaburzeń ze spektrum autyzmu przeprowadzane w populacji ogólnej dzieci w trakcie bilansu zdrowia stosowane jest w USA podczas wizyt kontrolnych w 18 oraz 24 miesiącu życia. W Szkocji, Niemczech, Francji badanie przesiewowe jest przeprowadzane u dzieci z podwyższonym ryzykiem wystąpienia ASD oraz z niepokojącymi objawami. We wszystkich 4 krajach kwestionariusz M-CHAT jest wymieniany jako jedno z wielu narzędzi możliwych do wykorzystania w trakcie oceny, jednak nie wskazuje się preferowanego narzędzia.

Główne argumenty decyzji

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne rozszerzenie badań bilansu zdrowia dziecka w drugim roku życia o ocenę rozwoju psychospołecznego jako świadczenia gwarantowanego, natomiast nie widzi uzasadnienia dla ograniczania tej oceny do użycia wyłącznie kwestionariusza M-Chat.

Aktualnie badania bilansowe w drugim roku życia dziecka nie obejmują oceny rozwoju psychospołecznego. Poszerzenie bilansu zdrowotnego dziecka w wieku dwóch lat o ocenę rozwoju psychoruchowego może przyczynić się do wcześniejszej diagnozy zaburzeń psychicznych dziecka i wczesnego objęcia opieką specjalistyczną. Takie badania realizowane są w innych krajach, a koszty z tym związane nie powinny stanowić istotnego obciążenia dla płatnika publicznego.

Szczegółowy sposób przeprowadzania oceny oraz narzędzia w tym zakresie powinny być okresowo rekomendowane przez zespół powołany przez krajowego konsultanta właściwego ds. zdrowia psychicznego dzieci i młodzieży w oparciu o aktualne dane naukowe oraz dostępność zwalidowanych narzędzi w języku polskim. W przypadku rozszerzenia badań bilansowych dzieci w wieku dwóch

o ocenę rozwoju psychospołecznego należy również przewidzieć podniesienie w tym zakresie kompetencji lekarzy POZ przeprowadzających bilans.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31c ust. 6 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1*/ art. 31c ust. 6 w zw. z art. 31ca i 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.), z uwzględnieniem raportu w sprawie oceny zasadności kwalifikacji świadczeń do wykazu świadczeń gwarantowanych z zakresu podstawowej opieki zdrowotnej nr: WS.420.2.2023 „Badanie przesiewowe za pomocą kwestionariusza M-Chat, do diagnozowania nieprawidłowości ze spektrum autyzmu”; data ukończenia 22.03.2023 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 33/2023 z dnia 27 marca 2023 roku
w sprawie zasadności kwalifikacji świadczenia opieki zdrowotnej
„Badanie nasienia (seminogram)” jako świadczenia gwarantowanego

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „Badanie nasienia (seminogram)” jako świadczenia gwarantowanego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Niepłodność to choroba definiowana przez WHO jako niemożność uzyskania lub donoszenia ciąży po roku regularnego współżycia bez stosowania metod antykoncepcyjnych. Przyjmuje się, że przyczyny niepłodności są rozłożone równomiernie po stronie kobiet i mężczyzn, czasami diagnozuje się ją u obojga partnerów. U około 20% par dotkniętych problemem nie można ustalić jednoznacznej przyczyny niepłodności. Głównymi znanymi przyczynami niepłodności u mężczyzn są: zaburzenie koncentracji, ruchliwości i budowy plemników, brak plemników w nasieniu, a także zaburzenia we współżyciu płciowym i ejakulacji.

Seminogram polega na ocenie jakości plemników, ich liczby oraz aktywności. W trakcie badania analizowane są ogólne parametry nasienia, takie jak objętość i lepkość ejakulatu, czas upłynnienia, pH, wygląd nasienia, ogólna liczba plemników w nasieniu, liczba plemników w 1 ml ejakulatu, odsetek żywych i poruszających się plemników, a także ewentualna aglutynacja (zgrupowanie) plemników i stopień jej zaawansowania. Oceny nasienia dokonuje się metodą manualną lub komputerową.

Obecnie rozliczenie badania nasienia odbywa się w ramach procedury ICD-9: 91.891 „Badanie makroskopowe materiału biologicznego – preparat bezpośredni”, której wykonanie kwalifikuje do grupy W15 „Świadczenie specjalistyczne 5-go typu” w ramach świadczeń opieki specjalistycznej. Ponadto badanie nasienia jest realizowane (przez 16 ośrodków referencyjnych w 11 miastach Polski) w ramach programu polityki zdrowotnej Ministra Zdrowia „Rządowy program kompleksowej ochrony zdrowia prokreacyjnego w Polsce na lata 2021-2023 r.”.

Problem decyzyjny dotyczy propozycji Konsultanta Krajowego w dziedzinie położnictwa i ginekologii wyodrębnienia tego świadczenia z grupy W15 i zakwalifikowanie go jako świadczenia gwarantowanego. Propozycja obejmuje włączenie go do listy badań dodatkowych „W12 Badania dodatkowe - grupa 11” i zakwalifikowanie do rozliczenia w ramach świadczenia „W18 świadczenie specjalistyczne 8-go typu”. Świadczenie powinno być realizowane w poradni specjalistycznej o profilu: położnictwo i ginekologia, endokrynologia, urologia. Procedura „Badanie mikroskopowe materiału biologicznego – preparat bezpośredni” obejmuje bowiem badanie również z innych miejsc w organizmie człowieka (np. badanie mykologiczne skóry głowy, cytologia cienkoigłowa bioptatu z tarczycy), a wyceniana jest na 56 punktów (tj. około 89 zł).

W 2017 r. Prezes Agencji wydał pozytywną rekomendację (nr 93/2017) w sprawie zasadności kwalifikacji świadczenia opieki zdrowotnej „Opieka nad niepłodną parą” jako świadczenia gwarantowanego z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej i leczenia szpitalnego, w ramach którego przewidziano m.in. wykonanie seminogramu metodą manualną oraz komputerową (pod warunkiem określenia standardu postępowania). Pozytywną opinię w tym zakresie wyraziła także w swoim stanowisku (nr 168/2017) Rada Przejrzystości.

Dowody naukowe

Seminogram jest złotym standardem procesu diagnostycznego, ugruntowanym i wykorzystywanym w praktyce klinicznej od lat, zalecanym przez wszystkie odnalezione dokumenty wytycznych klinicznych. Zalecane jest wykonanie minimum jednego seminogramu, a w przypadku wystąpienia nieprawidłowego wyniku należy przeprowadzić badanie powtórne. Wyniki seminogramu powinny być wykorzystywane do podejmowania dalszych decyzji dotyczących pogłębienia diagnostyki pacjenta i wdrożenia leczenia przyczynowego. Nie istnieją alternatywne metody realizacji tego badania. Zalecenia wskazują przy tym, że diagnostyka niepłodności dla par powinna rozpocząć się równolegle u kobiety i mężczyzny.

Polskie wytyczne PTMRiE / PTGP 2018 dotyczące diagnostyki i leczenia niepłodności rekomendują przeprowadzenie oceny nasienia metodą komputerową (CASA) lub manualną przez diagnostów z odpowiednim przygotowaniem do wykonywania tego rodzaju badań.

Problem ekonomiczny

W wyniku wprowadzenia procedury „Badanie nasienia (seminogram)” do katalogu świadczeń gwarantowanych w ramach ambulatoryjnej opieki specjalistycznej prognozowane wydatki płatnika publicznego związane z ewentualną realizacją tej procedury wyniosłyby minimalnie 390 673,08 zł (przy liczbie badań na poziomie 1764 i koszcie procedury na poziomie 221,47 zł),

a maksymalnie 2 905 000 zł – przy liczbie badań 8 300 i koszcie procedury na poziomie 350 zł).

Główne argumenty decyzji

Niepłodność powoduje poważne konsekwencje psychologiczne i ekonomiczne, zarówno na poziomie indywidualnym, jak i społecznym. Szacuje się, że problem ten dotyczy 12-15% (czyli około 1,2 mln) par. Jednocześnie Polska należy do państw o jednym z najniższych współczynników dzietności.

Diagnostyka mężczyzn zwykle rozpoczyna się dopiero po przeprowadzeniu diagnostyki kobiet, co prowadzi do znacznego przedłużenia procesu diagnostycznego i leczniczego, oddalając moment podjęcia właściwej terapii. Jest to sytuacja szczególnie niepożądana w związku z ogromnym znaczeniem czasu w procesie leczenia niepłodności. Tymczasem badanie nasienia jest podstawowym badaniem pierwszego rzutu wykorzystywanym w diagnostyce niepłodności męskiej, która powinna się rozpocząć równolegle z diagnostyką kobiety. Przeprowadzenie na wstępie diagnostyki niepłodności seminogramu w wielu przypadkach pozwala uniknąć niepotrzebnych kosztów związanych z zaawansowaną diagnostyką niepłodności kobiecej. Prawidłowy wynik seminogramu pozwala na wstrzymanie dalszej diagnostyki po stronie mężczyzny, natomiast nieprawidłowy – pozwala zaplanować dalsze działania związane pogłębioną diagnostyką.

Wnioskowana technologia jest refundowana w większości krajów europejskich. Wszyscy eksperci, do których zwrócono się o wyrażenie opinii, rekomendują objęcie tej technologii finansowaniem z budżetu NFZ.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31c ust. 6 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1*/ art. 31c ust. 6 w zw. z art. 31ca i 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.), z uwzględnieniem raportu nr: WS.420.12.2023 „Badanie nasienia (seminogram) Badanie MAR IgG/IgA (ocena przeciwciał przeciw plemnikowym) – ocena zasadności kwalifikacji świadczenia opieki zdrowotnej jako świadczenia gwarantowanego z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej”; data ukończenia 22.03.2023 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 34/2023 z dnia 27 marca 2023 roku
w sprawie zasadności kwalifikacji świadczenia opieki zdrowotnej
„Badanie MAR IgG/IgA (ocena przeciwciał przeciw plemnikowych)”
jako świadczenia gwarantowanego

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne „Badanie MAR IgG/IgA (ocena przeciwciał przeciw plemnikowych)” jako świadczenia gwarantowanego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Niepłodność to choroba definiowana przez WHO jako niemożność uzyskania lub donoszenia ciąży po roku regularnego współżycia bez stosowania metod antykoncepcyjnych. Przyjmuje się, że przyczyny niepłodności są rozłożone równomiernie po stronie kobiet i mężczyzn, czasami diagnozuje się ją u obojga partnerów. U około 20% par dotkniętych problemem nie można ustalić jednoznacznej przyczyny niepłodności. Głównymi znanymi przyczynami niepłodności u mężczyzn są: zaburzenie koncentracji, ruchliwości i budowy plemników, brak plemników w nasieniu, a także zaburzenia we współżyciu płciowym i ejakulacji.

Test MAR służy do wykrywania przeciwciał przeciwplemnikowych (ASA) klasy IgG i IgA w nasieniu. Diagnoza niepłodności immunologicznej na podstawie testu MAR może być podejrzewana, gdy 50% lub więcej ruchomych plemników ma przyłączone przeciwciała. Jednak poczęcie jest nadal możliwe, przy założeniu, że nie ma innych nieprawidłowości w nasieniu.

Test MAR nie jest finansowany ze środków publicznych w ramach świadczeń gwarantowanych z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej. Realizacja testu MAR odbywa się natomiast w ramach programu polityki zdrowotnej „Rządowy program kompleksowej ochrony zdrowia prokreacyjnego w Polsce na lata 2021–2023 r.” W ramach programu w 2021 roku wykonano 479 badań, a od stycznia do września 2022 roku – 537 badań.

Problem decyzyjny obejmuje zasadność kwalifikacji tego świadczenia jako świadczenia gwarantowanego z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej. Świadczenie ma być realizowane w poradni specjalistycznej o profilu położnictwo i ginekologia lub endokrynologia. Test ten należy wykonywać w przypadkach, gdy

podejrzewa się niepłodność o podłożu immunologicznym (słaba ruchliwość plemników czy aglutynacja plemników odnotowane w ogólnym badaniu nasienia). Propozycja obejmuje włączenia go do listy badań dodatkowych „W12 Badania dodatkowe - grupa 11” i zakwalifikowanie do rozliczenia w ramach świadczenia „W18 świadczenie specjalistyczne 8-go typu”.

Dowody naukowe

Zgodnie z odnalezionymi wytycznymi badanie na obecność przeciwciał przeciwplemnikowych w nasieniu nie jest zalecane, gdy analiza nasienia według kryteriów WHO jest prawidłowa. Badanie przeciwciał plemnikowych nie powinno być początkowym etapem diagnostyki oraz powinno być stosowane tylko wtedy, gdy będzie miało wpływ na postępowanie z pacjentem. Polskie wytyczne PTMRIE / PTGP 2018 dotyczące diagnostyki i leczenia niepłodności wskazują, że gdy w nasieniu stwierdza się aglutynację plemników, badanie przeciwciał przeciwplemnikowych powinno być wykonywane, chociaż obecność przeciwciał jest wyjątkowo rzadką przyczyną niepłodności i nie zmienia postępowania terapeutycznego.

Do analizy włączono jedno retrospektywne badanie Gatimel 2018 (N= 1364). W świetle jego wyników głównym czynnikiem wpływającym na odsetek ASA była obecność lub brak aglutynacji plemników. W obecności aglutynacji 27 z 72 (37,5%) pacjentów było pozytywnych dla ASA, w porównaniu z 33 z 1292 (2,6%) przy braku aglutynacji ($P < 0,0001$). Kiedy jeden czynnik ryzyka był obecny (spontaniczna aglutynacja plemników, uraz moszny w wywiadzie lub operacja pachwinowa), 33 ze 179 (18,44%) testów było dodatnich dla ASA ($\geq 50\%$ plemników); tylko 27 z 1242 (2,2%) było dodatnich, gdy nie występował żaden czynnik ryzyka ($P < 0,0001$). Autorzy badania wnioskuje w związku z tym, że wykrywanie przeciwciał przeciwplemnikowych nie powinno być systematycznie prowadzone w ocenie stanu płodności oraz przed ART, ale stosowane w sytuacjach, gdy podczas konwencjonalnego badania nasienia stwierdza się aglutynację plemników lub gdy pacjent ma uraz moszny w wywiadzie lub przeszedł operację pachwinową.

Wyniki przeglądu Gupta 2022 dotyczącego zastosowania badania przeciwciał przeciwplemnikowych i wpływie na leczenie niepłodności męskiej o podłożu immunologicznym wskazują, iż leczenie może obejmować zastosowanie kortykosteroidów, które wykazują korzyści w zakresie poprawy odsetka ciąż naturalnych oraz poprawiają wskaźnik powodzenia IVF (ale nie ICSI) – należy jednak rozważyć przy tym wiele ogólnoustrojowych skutków ubocznych leczenia. Innym wskazanym sposobem jest stosowanie metod wspomaganego rozrodu: płukanie nasienia przed procedurami ART celem rozcieńczenia przeciwciał. Zapłodnienie metodą docytoplazmatycznej mikroiniekcji plemnika do komórki jajowej (ICSI) jest preferowaną metodą przy występowaniu niepłodności spowodowanej przeciwciałami przeciwplemnikowymi. W publikacji podkreślono,

że jeśli para jest umówiona na ICSI, nie ma potrzeby wykonywania testu na ASA, ponieważ nie będzie to miało wpływu na szanse powodzenia.

Problem ekonomiczny

W wyniku wprowadzenia procedury „Badanie MAR IgG/IgA (ocena przeciwciał przeciwplemnikowych)” do katalogu świadczeń gwarantowanych w ramach ambulatoryjnej opieki specjalistycznej prognozowane wydatki płatnika publicznego związane z ewentualną realizacją tej procedury wyniosłyby minimalnie 33 989,35 zł (przy liczbie badań na poziomie 605 i koszcie procedury na poziomie 221,47 zł), a maksymalnie 2 905 000 zł (przy liczbie badań 8 300 i koszcie procedury na poziomie 350 zł).

Główne argumenty decyzji

Obecność przeciwciał plemnikowych jest wyjątkowo rzadką przyczyną niepłodności i nie zmienia postępowania terapeutycznego. Wytyczne NICE 2013 wskazują, że badanie przesiewowe pod kątem przeciwciał przeciwplemnikowych nie powinno być stosowane z uwagi na brak dowodów na efektywne leczenie pod kątem poprawy płodności. Jeden z ekspertów, do których zwrócono się o wyrażenie opinii, stwierdza, że wnioskowana technologia nie powinna być finansowana z budżetu NFZ z uwagi na ograniczoną skuteczność wynikającą z ograniczonych wskazań do stosowania. Za wystarczające należy uznać finansowanie testu MAR w ramach „Rządowego programu kompleksowej ochrony zdrowia prokreacyjnego w Polsce na lata 2021–2023 r.”

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31c ust. 6 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1*/ art. 31c ust. 6 w zw. z art. 31ca i 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.), z uwzględnieniem raportu w sprawie oceny świadczeń opieki zdrowotnej nr: WS.420.12.2023 „Badanie nasienia (seminogram) Badanie MAR IgG/IgA (ocena przeciwciał przeciw plemnikowych) – ocena zasadności kwalifikacji świadczenia opieki zdrowotnej jako świadczenia gwarantowanego z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej”; data ukończenia 22.03.2023 r.



Opinia Rady Przejrzystości

nr 41/2023 z dnia 27 marca 2023 roku

w sprawie zasadności włączenia do świadczeń gwarantowanych z zakresu zaopatrzenia w wyroby medyczne wydawane na zlecenie ortez kompresyjnych stosowanych w schorzeniach neurologicznych

Rada Przejrzystości uważa za zasadne włączenie do świadczeń gwarantowanych z zakresu zaopatrzenia w wyroby medyczne wydawane na zlecenie: ortez kompresyjnych stosowanych w schorzeniach neurologicznych we wskazaniu mózgowo porażenie dziecięce.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Prawidłowy rozkład napięcia mięśniowego u dziecka gwarantuje fizjologiczny rozwój ruchowy, czyli jego zmienność i wariantowość. Zarówno wzmożone, jak i zmniejszone napięcie mięśniowe jest przyczyną trudności w przeciwdziałaniu sile grawitacji na każdym etapie rozwoju.

Hipotonia mięśniowa to obniżenie tonicznego napięcia mięśniowego. Może być ona objawem wielu chorób wrodzonych lub nabytych, m.in.: zespołu Downa, encefalopatii niedotleniowo-niedokrwiennej, krwotoku śródczaszkowego, zapalenia opon mózgowo-rdzeniowych, SMA – rdzeniowego zaniku mięśni itp.

Hipertonía mięśniowa to zwiększone napięcie mięśni szkieletowych, które może się rozwinąć w każdym wieku. Wpływają na nie ośrodki nerwowe podwzgórza poprzez zwiększenie napięcia psychicznego, aktywację układu hormonalnego i nerwowego autonomicznego. Może przybrać postać spastyczności lub sztywności. Do głównych przyczyn hipertonii zaliczamy: wypadek z urazem głowy/rdzenia kręgowego, nowotwory obejmujące układ nerwowy, porażenie mózgowo, zatrucie niektórymi substancjami chemicznymi.

Kamizelka kompresyjna jest ortezą uciskową na bazie lycry, której celem jest poprawa stabilności proksymalnej. Zastosowanie ortez kompresyjnych dostarcza informacji pozaproprioceptywnych, które zwiększają świadomość ciała, a korekcja proprioceptywnych danych skutkuje bardziej właściwym ułożeniem ciała. Ortezy kompresyjne przeznaczone są dla dzieci z problemem z regulacją napięcia mięśniowego, dzieci z mózgowym porażeniem dziecięcym, hipotonią czy zespołami genetycznymi np. zespół Downa, Angelmana czy Retta. Orteza

kompresyjna wykorzystywana jest również w terapii dzieci ze spektrum autyzmu oraz zaburzeniami integracji sensorycznej.

Technologią (interwencją) stosowaną w chorobach neurologicznych u dzieci jest kompleksowa rehabilitacja. Aktualnie refundowane są gorsety ortopedyczne wykonywane na zamówienie: odciążająco – stabilizujący, korekcyjne do leczenia skolioz lub kifozy oraz orteza tułowia lędźwiowo-krzyżowa.

Ortezy kompresyjne mogą stanowić jedynie terapię add-on do stosowanej obecnie rehabilitacji w przypadku dzieci z problemami regulacji napięcia mięśniowego

Dowody naukowe

Odnaleziono 1 publikację opisującą badanie RCT (Giray 2018), badanie w populacji dzieci z mózgowym porażeniem dziecięcym, randomizowane, pojedynczo zaślepienie. Celem badania Giray 2018 była ocena skuteczności stosowania ortezy uciskowej na bazie lycry, (kamizelka SPIO) na poprawę postawy tułowia i wskaźnika migracji głowy kości udowej u dzieci z mózgowym porażeniem dziecięcym oraz porównanie efektów 2- i 6- godzinnego codziennego noszenia ortezy.

Statystycznie istotne różnice 6 miesięcy po leczeniu wystąpiły w skali SAS dla wszystkich grup w porównaniu z wartością wyjściową, jednakże wzrost SAS był znacznie mniejszy w grupie kontrolnej niż w obu grupach interwencji. Żadna z grup nie wykazała istotnej zmiany wskaźnika migracji w prawym lub lewym stawie biodrowym po leczeniu w porównaniu ze stanem wyjściowym. Kąt Cobba i kąt kifozy piersiowej znacznie się zmniejszyły w grupach SPIO (wynik istotny statystycznie), natomiast w grupie kontrolnej wyniki nie różniły się istotnie po 6 miesiącach leczenia w porównaniu z wartościami wyjściowymi. W przeciwieństwie do zmian kąta kifozy, zmiany kąta Cobba nie różniły się istotnie między grupami. Orteza SPIO w połączeniu z kinezyterapią poprawia kifozę, natomiast nie wpływa na skoliozę i stabilność stawów biodrowych u dzieci z MPD z zaburzoną kontrolą tułowia.

Wszyscy pacjenci korzystali z rehabilitacji leczniczej.

Konsensus ISPO 2008 zwraca uwagę na fakt, że przepisywanie ortez jest głównie określone przez deficyty funkcjonalne i neurobiomechaniczne i wskazuje, że postępowanie ortotyczne można również rozważyć, biorąc pod uwagę poziomy GMFCS. W dokumencie wymienione zostały ortezy na bazie lycry dzięki, którym niektóre dzieci z MPD odczuwają poprawę funkcjonalną w życiu codziennym natomiast inne dzieci mają trudności z założeniem lub zdjęciem ortezy a w pełnym kombinezonie mają ograniczone ruchy, odczuwają nadmierne ciepło lub mają problemy z prawidłowym oddychaniem. Charakterystyka osób, które mogą odnieść korzyści z używania odzieży z lycry, nie jest dobrze zdefiniowana w literaturze ponieważ synteza dowodów z badań oceniających

ortezy na bazie lycry jest utrudniona ze względu na heterogeniczność badanych ortez, różne typy leczonych MPD i mierzone wyniki Skuteczność ortez na bazie lycry nie została ustalona w poprawieniu funkcjonowania i należy ją dokładnie ocenić w kontekście badawczym.

Problem ekonomiczny

Należy zwrócić uwagę na dużą ilość zmiennych, które będą miały wpływ na ostateczne koszty ponoszone przez płatnika. W ocenie wpływu na budżet uwzględniono jedynie populację dzieci z mózgowym porażeniem dziecięcym, bez dzieci z innymi zaburzeniami neuromotorycznymi (dzieci z problemami z regulacją napięcia mięśniowego, hipotonią czy zespołami genetycznymi np. zespół Downa, Angelmana czy Retta, dzieci ze spektrum autyzmu oraz zaburzeniami integracji sensorycznej. W scenariuszu przyjmującym założenia eksperta oszacowania dotyczą populacji łącznej. W przypadku ewentualnego objęcia refundacją wnioskowanej technologii, prognozowane koszty refundacji na podstawie przyjętych założeń, prawdopodobnie będą kształtowały się na poziomie:

- ok. 14 mln PLN przy założeniu refundacji dla około 7 tys. pacjentów rocznie;*
- ok 20 mln PLN przy założeniu refundacji dla około 10 tys. pacjentów rocznie*

Główne argumenty decyzji

1. Badania i wytyczne wskazują na addatywny efekt do fizjoterapii ocenianej technologii u dzieci z mózgowym porażeniem dziecięcym.

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.422.1.2023 „Ocena zasadności włączenia do świadczeń gwarantowanych z zakresu zaopatrzenia w wyroby medyczne wydawane na zlecenie ortez kompresyjnych stosowanych w schorzeniach neurologicznych”; data ukończenia 23.03.2023 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 42/2023 z dnia 27 marca 2023 roku
w sprawie zasadności włączenia do świadczeń gwarantowanych
z zakresu zaopatrzenia w wyroby medyczne wydawane na zlecenie
ortez głowy typu kaski ochronne produkowanych seryjnie
w przypadku dzieci z porażeniem mózgowym,
ataksją lub spastycznością

Rada Przejrzystości uważa za zasadne włączenie do świadczeń gwarantowanych z zakresu zaopatrzenia w wyroby medyczne wydawane na zlecenie ortez głowy typu kaski ochronne produkowanych seryjnie w przypadku dzieci z porażeniem mózgowym, ataksją czy spastycznością.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Mózgowe porażenie dziecięce (MPD) to zaburzenie charakteryzujące się nieprawidłowościami w zakresie napięcia mięśniowego, postawy i ruchu, które klinicznie klasyfikuje się na podstawie dominującego zespołu motorycznego na spastyczne porażenie połowicze, diplegię spastyczną, spastyczne porażenie czterokończynowe, postać pozapiramidową oraz dyskinetyczną. Częstość występowania MPD wynosi 2–3 na 1000 żywo urodzonych dzieci.

Główną przyczyną urazów u dzieci z zaburzeniami neuromotorycznymi są upadki, które mogą mieć istotne skutki dla tych pacjentów, dodatkowo pogarszając ich stan zdrowia. Konsekwencją upadków u dzieci bywają pęknięcia czaszki, obrzęki oraz wstrząśnienia mózgu.

Szacowana liczebność populacji kwalifikowanej do korzystania z kasków ochronnych wyniosła od 1 207 do 2 131 pacjentów rocznie, przy założeniu, że ryzyko urazu głowy w populacji pediatrycznej pacjentów z mózgowym porażeniem dziecięcym wynosi od 1,7% do 3,1% w skali roku.

Dowody naukowe

Nie zidentyfikowano wytycznych praktyki klinicznej, dowodów naukowych uzasadniających kryteria stosowania oraz oceniających skuteczność i potencjalne negatywne skutki noszenia kasków ochronnych.

Problem ekonomiczny

W przypadku ewentualnego objęcia refundacją wnioskowanej technologii, prognozowane koszty refundacji na podstawie przyjętych założeń, prawdopodobnie będą kształtowały się na poziomie: w wariancie minimalnym wyniosą ok. 360 tys. PLN (około 1 200 pacjentów rocznie) przy założeniu, że ryzykiem urazu głowy objętych jest 1,7% populacji dzieci z MPD oraz w wariancie maksymalnym 640 tys. PLN, przy założeniu ryzyka urazu na poziomie 3,1%.

Główne argumenty decyzji

1. Refundacja w co najmniej 5 krajach UE.
2. Niewielkie koszty dla płatnika.

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.422.2.2023 „Ocena zasadności włączenia do świadczeń gwarantowanych z zakresu zaopatrzenia w wyroby medyczne wydawane na zlecenie ortez głowy typu kaski ochronne produkowanych seryjnie w przypadku dzieci z porażeniem mózgowym, ataksją lub spastycznością”; data ukończenia 23.03.2023 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 43/2023 z dnia 27 marca 2023 roku
w sprawie zasadności włączenia do świadczeń gwarantowanych
z zakresu zaopatrzenia w wyroby medyczne wydawane na zlecenie
ortez głowy typu kaski korekcyjne wykonywane na zamówienie
w przypadku deformacji czaszki, plagiocefalii - „skośnogłowia”
lub brachycefalii - „płaskogłowia”

Rada Przejrzystości uważa za niezasadne włączenie do świadczeń gwarantowanych z zakresu zaopatrzenia w wyroby medyczne wydawane na zlecenie ortez głowy typu kaski korekcyjne wykonywanych na zamówienie w przypadku deformacji czaszki, plagiocefalii - „skośnogłowia” lub brachycefalii - „płaskogłowia”.

Rada uważa, że konieczne jest stworzenie kompleksowego świadczenia gwarantowanego obejmującego opiekę wykwalifikowanego personelu i w uzasadnionych sytuacjach wydanie ortez.

Uzasadnienie

Deformacje czaszki u dzieci można podzielić na dwie podstawowe grupy:

- *deformacje ułożeniowe powstające w wyniku ucisku na sklepienie czaszki w łonie matki lub po porodzie – spowodowane wymuszonym ułożeniem głowy (np. u dzieci opóźnionych w rozwoju motorycznym), nasilone zaburzeniami wapnienia kości czaszki,*
- *właściwe ścieśnienie czaszki powstające w wyniku przedwczesnego zarośnięcia jednego lub kilku szwów czaszkowych (potwierdzonego w RTG) z fenotypem charakterystycznym dla miejsca zarośnięcia (np. długogłowie, czaszka łódkowata [scaphocephalia] – przedwczesne zarośnięcie szwu strzałkowego, krótkogłowie [brachycephalia] – obustronnie zarośnięty szew wieńcowy, skośnogłowie [plagiocephalia] – jednostronnie zarośnięty szew wieńcowy).*

U większości dzieci deformacje ułożeniowe ustępują samoistnie w ciągu kilku miesięcy życia dziecka. Deformacje można odróżnić na podstawie odpowiednich pomiarów główki dziecka. Plagiocefalia według wskaźnika różnicy średnic skośnych ODDI (ang. Oblique Diameter Difference Index) definiowana jest jako ODDI wyższe niż 106%. Brachycefalia według wskaźnika proporcji czaszki

(indeks cefaliczny) CPI (CI) (ang. cranioproportional index) definiowana jest jako CPI wyższe niż 95%.

Obecna liczba populacji docelowej w Polsce wynosi 2500 dzieci w wieku do 12 miesięcy. Liczba nowych zachorowań w ciągu roku wynosi 3000 (ok. 3% urodzeń), natomiast odsetek osób, u których oceniana technologia byłaby stosowana to 100%.

Istnieją specjalnie zaprojektowane kaski które mogą pomóc poprawić kształt czaszki dziecka w miarę jego wzrostu. Wyroby te wywierają nacisk na „wybrzuszone” części czaszki i zmniejszają nacisk z innych części, potencjalnie umożliwiając wzrost w bardziej płaskich obszarach.

Leczenie rozpoczyna się, gdy czaszka dziecka jest jeszcze miękka, zwykle w wieku około 5 lub 6 miesięcy, a wyroby są noszone niemal nieprzerwanie (do 23 godzin dziennie) przez kilka miesięcy.

Jeśli zalecany jest kask do modelowania czaszki, pacjenta kieruje się do ortotyka w celu dopasowania kasku. Kask dopasowuje się co 1-2 tygodnie, ponieważ główka dziecka rośnie bardzo szybko. Obejmuje to regulację piankowej wyściółki i/lub części zewnętrznego plastikowego kasku.

Aktualnie refundowaną interwencją jest fizjoterapia.

Dowody naukowe

Dostępne badania naukowe obarczone są ograniczeniami z powodu wysokiego ryzyka błędu systematycznego (badanie RCT van Wijk 2014) lub były to badania jednoramienne bądź kohortowe.

Wyniki:

- badanie RCT van Wijk 2014

Wynik zmiany wskaźnika plagiocefalii (ODDI) i brachycefalii (CPI) od 5 do 24 miesiąca życia był podobny w obu grupach i nie różnił się istotnie. Ponadto liczba dzieci wykazujących pełne wyleczenie była porównywalna w obu grupach, a różnica nie była istotna statystycznie (OR=1,2, 95% CI 0,4 do 3,3 p=0,74).

- badanie kohortowe Kluba 2014

Różnice w wynikach między grupami są statystycznie istotne dla bezwzględnego końcowego wskaźnika CVAI (mediana 4,1 % w grupie stosującej kask vs 6,29 % w grupie bez kasku), jak również dla zmian wskaźnika CVAI: względnych (zmniejszenie asymetrii o 68,3% (zakres: 28,9–100%, SD 15,4) w grupie z kaskiem vs 30,7% (zakres -40,4–88,9%, SD 28,7) po roku obserwacji w grupie bez kasku) i bezwzględnych (9,2% (SD 2,5) w grupie z kaskiem vs 2,7% (SD 3,0) (wartości p<0,0001). Stwierdzono jedynie słabą dodatnią korelację między stopniem początkowej asymetrii a stopniem zmiany i poprawy.

- badania jednoramienne: Kelly 2018, Cho 2017, Seruya 2013

- Kelly 2018

Zbadano wpływ wieku w chwili rozpoczęcia terapii kaskiem na wyniki leczenia w podziale na trzy subpopulacje (≥ 3 do < 6 miesięcy; ≥ 6 do < 9 miesięcy i ≥ 9 do ≤ 12 miesięcy). Wartość wyjściowa wskaźnika CI nie różniła się istotnie między grupami wiekowymi. Wraz ze wzrostem wieku czas leczenia znacząco się wydłużał (wynosił odpowiednio: 11,9 tygodni, 15,8 tygodni, 17,4 tygodni), a zmiany w wyniku leczenia były coraz mniejsze (odpowiednio: 5,8; 5,4; 4,3 p.p.). ($p < 0,0001$). U dzieci, u których leczenie rozpoczęto przed 9 miesiącem życia, nastąpiła więc znacznie większa poprawa w krótszym czasie niż u starszych dzieci. 69,5% dzieci miało wyjściowo ciężką postać brachycefalii (CI > 93), 17,4% z nich po leczeniu uzyskało wskaźnik CI odpowiadający normie (CI ≤ 88), u 27% uzyskano poprawę do postaci łagodnej, u 39,6% do postaci umiarkowanej, a u 15,6% utrzymała się ciężka postać deformacji. Spośród dzieci z łagodną i umiarkowaną postacią deformacji, kształt głowy unormował się odpowiednio u 84,6% i 69% z nich. Ogółem u 87,7% dzieci nastąpiła poprawa symetrii głowy i u żadnego nie wystąpiło pogorszenie brachycefalii.

- Cho 2017

Średnie wartości wskaźników symetrii zmieniały się następująco: ASR = 0,913 przed leczeniem, po terapii wzrósł do 0,982, PSR wyjściowo wynosił 0,655, po leczeniu był równy 0,953, a OSR z wartości 0,820 wzrósł do 0,969 po zakończeniu terapii kaskiem. Wszystkie zmiany były istotne statystycznie. (Czaszkę uznaje się za symetryczną, gdy każdy z 3 powyższych wskaźników wynosi co najmniej 0,9)

- Seruya 2013

Za pomocą kasku można korygować asymetrię czaszki u dzieci do 15 miesiąca życia.

Wytyczne wskazują, że terapia z zastosowaniem kasku jest medycznie uzasadniona w niektórych przypadkach, przy spełnieniu określonych kryteriów. Leczenie ma zastosowanie w syntotycznych i niesyntotycznych deformacjach czaszki. Wskazuje się, że nie jest uzasadnione stosowanie kasków korekcyjnych u dzieci po ukończeniu 12 miesięcy (Anthem 2022, MassHealth 2018). (Stanowi uzupełnienie lub etap leczenia, np. operacyjnego lub po leczeniu zachowawczym. (Anthem 2022, MassHealth 2018, CNS 2016).

Problem ekonomiczny

W przypadku ewentualnego objęcia refundacją wnioskowanej technologii, prognozowane koszty refundacji na podstawie przyjętych założeń, prawdopodobnie będą kształtowały się na poziomie:

- ok. 14,3 mln PLN przy założeniu refundacji jednego kasku w cenie 5 000 zł dla około 2 900 pacjentów rocznie (scenariusz minimalny);
- ok. 48,5 mln PLN przy założeniu refundacji jednego kasku w cenie 8 500 zł dla około 5 700 pacjentów rocznie (scenariusz maksymalny).

Główne argumenty decyzji

1. *Dowody naukowe ma skuteczność stosowania kasków w terapii deformacji czaszki obciążone są znaczącymi ograniczeniami.*
2. *Duża niepewność co do obciążeń dla płatnika publicznego.*
3. *Stosowanie ortez wymaga kontroli przez wykwalifikowany personel.*

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.422.3.2023 „Ocena zasadności włączenia do świadczeń gwarantowanych z zakresu zaopatrzenia w wyroby medyczne wydawane na zlecenie ortez głowy typu kaski korekcyjne wykonywane na zamówienie w przypadku deformacji czaszki, plagiocefalii – »skośnogłowie« lub brachycefalii - »płaskogłowie«”; data ukończenia 21.03.2023 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 35/2023 z dnia 27 marca 2023 roku
w sprawie oceny leku Opdivo (niwolumab)
w ramach programu lekowego B.58. „Leczenie chorych
na zaawansowanego raka przełyku i żołądka (ICD-10: C15-C16)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktów leczniczych:

- *Opdivo (nivolumabum), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 10 mg/ml, 1, fiol. 10 ml, kod EAN: 05909991220518,*
- *Opdivo (nivolumabum), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 10 mg/ml, 1, fiol. 4 ml, kod EAN: 05909991220501,*

w ramach programu lekowego B.58. „Leczenie chorych na zaawansowanego raka przełyku i żołądka (ICD-10: C15-C16)”, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie, pod warunkiem zapewnienia efektywności kosztowej.

Rada nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Ocena zasadności objęcia refundacją Niwolumab (Opdivo), stosowanego w skojarzeniu z chemioterapią opartą na fluoropirymidynie (5 fluorouracyl, kapecytabina) i pochodnej platyny (oksalipatynie – według schematu FOLFOX lub CAPOX) w pierwszej linii leczenia dorosłych pacjentów z HER2-ujemnym, nieoperacyjnym miejscowo zaawansowanym lub przerzutowym gruczolakorakiem żołądka, połączenia przełykowo-żołądkowego lub przełyku, u których CPS wynosi ≥ 5 .

Produkt leczniczy Opdivo wielokrotnie podlegał ocenie Agencji, a oceny te dotyczyły zasadności finansowania niwolumabu w leczeniu raka obejmującego m.in. płuco, nerki, pęcherz moczowy, drogi żółciowe, skórę, trzustkę i jelito grube. W zakresie ocenianych w ramach niniejszego wniosku wskazań, nie zidentyfikowano stanowisk i rekomendacji dotyczących leku Opdivo w leczeniu raka żołądka lub połączenia żołądkowo-przełykowego. W zakresie terapii raka przełyku, niwolumab był przedmiotem ocen Agencji w latach 2022 i 2023 r. W marcu 2023 roku niwolumab uzyskał pozytywną rekomendację

w skojarzeniu z ipilimumabem w leczeniu w ramach programu B.58 (pod warunkiem obniżenia kosztów do poziomu efektywności kosztowej dla wszystkich wskazań).

Dowody naukowe

W badaniu CheckMate 649 wykazano, że stosowanie niwolumabu w skojarzeniu z chemioterapią w porównaniu do samej chemioterapii wiązało się z:

- istotnym statystycznie niższym o 30% ryzykiem zgonu [HR=0,70; 95%CI: 0,61; 0,81]; mediana OS była o 3,3 miesiące dłuższa w grupie badanej w porównaniu do grupy kontrolnej;
- znamienym statystycznie 30% zmniejszeniem ryzyka progresji lub zgonu [HR=0,70; 95%CI: 0,60; 0,81]; mediana PFS była w ramieniu NIV+CT dłuższa o 2 miesiące względem samej CT;
- istotnym statystycznie wyższym o 32% prawdopodobieństwem uzyskania ogólnej odpowiedzi na leczenie [RR=1,32; 95%CI: 1,16; 1,52];
- istotnym statystycznie blisko 2-krotnie większym prawdopodobieństwem uzyskania całkowitej odpowiedzi na leczenie [RR=1,94; 95%CI: 1,23; 3,06];
- numerycznie dłuższą medianą czasu utrzymywania się odpowiedzi na leczenie (9,7 mies. vs. 7,0 mies.).

Badanie CheckMate 649 wykazało, że wśród pacjentów z CPS \geq 5 ryzyko wystąpienia zdarzeń niepożądanych ogółem, 3-4. stopnia oraz zdarzeń prowadzących do przerwania terapii było istotnie statystycznie większe w grupie NIC+CT niż w grupie kontrolnej – oszacowane ryzyko w grupie badanej stanowiło odpowiednio 1,08, 1,36 i 1,54 ryzyka grupy kontrolnej. Natomiast w zakresie zgonów odnotowano zmniejszenie ryzyka po zastosowaniu schematu NIV+CT względem CT – ryzyko zgonu w grupie badanej stanowiło 88% ryzyka zgonu w ramieniu kontrolnym.

Ponadto w przeglądach systematycznych (Liu 2022; Noori 2022 oraz Da Silva 2021) wykazano, że schemat leczenia: inhibitory immunologicznego punktu kontrolnego plus chemioterapia jest obiecujący i niesie korzyści w obszarze OS i PFS.

Wybór schematu leczenia systemowego I linii HER2-ujemnego gruczolakoraka przełyku, połączenia przełykowo-żołądkowego i żołądka powinien zależeć od stanu sprawności chorych, chorób współistniejących oraz profilu działań niepożądanych leków cytotoksycznych. Terapia powinna być kontynuowana aż do istotnego zmniejszenia lub stabilizacji rozmiarów guza, o ile działania niepożądane są możliwe do opanowania oraz tak długo jak pacjent chce kontynuować terapię lub postępowanie terapeutyczne jest uzasadnione z medycznego punktu widzenia. Do głównych schematów chemioterapii, wskazanych w większości odnalezionych wytycznych, należy dwuskładnikowe skojarzenie związków platyny z (cisplatyna, oksaliplatyna) z fluoropirymidyną

(kapecytabina, 5-fluorouracyl). Wśród obecnie preferowanych przez wytyczne schematów chemioterapii znajdują się:

- skojarzenie oksaliplatyny z fluoropirymidyną, tj. FOLFOX, CAPOX,
- skojarzenie cisplatyna z fluoropirymidyną,
- skojarzenie irynotekanu z 5-fluorouracylem i leukoworyną, tj. FOLFIRI.

Niezalecane jest chemioterapii trójskładnikowej, opartej o związki platyny, fluoropirymidynę i taksany, ze względu na wysoką toksyczność schematu u niepewne korzyści w odniesieniu do przeżycia całkowitego.

Wytyczne polskie i amerykańskie (PTOK 2015, NCCN 2022) w pierwszej kolejności zalecają stosowanie schematów zawierających oksaliplatynę, gdyż jest ona lepiej tolerowana przez chorych niż cisplatyna, a także nie wymaga dożylnego nawadniania i podawania ciągłych wlewów z centralnym dostępem żylnym. Z kolei schemat zawierający irynotekan jest odpowiedni dla pacjentów z przeciwwskazaniami do podawania platyn (PTOK 2015).

Dla pacjentów w gorszym stanie ogólnym i przeciwwskazaniami do bardziej intensywnego leczenia, opcją terapeutyczną może schemat ELF (etopozyd, leukoworyna, 5 fluorouracyl), aczkolwiek cechuje się on niższą skutecznością (AHS 2021).

Najnowsze wytyczne (AHS 2021, NCCN 2022, ESMO 2022 oraz ASCO 2022) wymieniają możliwość terapii przeciwciałami anty-PD-1 w leczeniu nieoperacyjnego, HER2-ujemnego gruczolaka przetyku, połączenia przetykowo-żołądkowego i żołądka. Według powyżej wymienionych wytycznych terapia niwolumabem w skojarzeniu ze schematem FOLFOX/CAPOX jest preferowana (kat.1 dla pacjentów z CPS ≥ 5 i kat. 2B dla CPS < 5). Co istotne, w wytycznych ESMO 2022 nadmieniono, że terapia ta związana jest z wysoką korzyścią kliniczną w skali ESMO-MCBS (4 pkt). Dodatkowo wytyczne wskazują, że u pacjentów z gruczolakiem przetyku i połączenia przetykowo-żołądkowego z PD-L1 CPS ≥ 10 zarejestrowany jest również pembrolizumab, przy czym główne badanie rejestracyjne dla tej terapii (KEYNOTE-590) uwzględniło stosunkowo niewielu pacjentów z gruczolakiem.

Problem ekonomiczny

Stosowanie ocenianej interwencji w miejsce komparatora jest droższe i skuteczniejsze.

Zgodnie z oszacowaniami, objęcie refundacją wnioskowanej technologii spowoduje wzrost wydatków płatnika publicznego

Należy zauważyć, że w ramach programu lekowego objęto lek Keytruda (pembrolizumab) we wskazaniu zbliżonym do ocenianego: miejscowo zaawansowany rak przetyku nieoperacyjny lub z przerzutami, lub z HER-2 ujemny

gruczolakorak połączenia przetykowo-żołądkowego z potwierdzoną ekspresją PD-L1 CPS ≥ 10 (I linia leczenia). W związku z powyższym dla części wnioskowanej populacji docelowej pembrolizumab stanowi obecnie technologię opcjonalną. Wspólna część populacji dla pembrolizumabu i niwolumabu to chorzy z HER2-gruczolakorakiem przetyku i połączenia przetykowo-żołądkowego z ekspresją PD-L1 o wartości CPS ≥ 10 – oznacza to, że leczenie niwolumabem ma dodatkowo obejmować HER2- gruczolakoraka przetyku i połączenia przetykowo-żołądkowego z ekspresją PD-L1 o wartości CPS pomiędzy 5 a 9 oraz HER2-gruczolakoraka żołądka z ekspresją PD-L1 o wartości CPS ≥ 5 .

Główne argumenty decyzji

- Udowodniona skuteczność kliniczna schematów leczenia z zastosowaniem Opdivo (niwolumab) z chemioterapią.
- Pozytywne rekomendacje refundacyjne HAS 2022, CADTH 2022, RBAC 2021/2022, NICE 2023 oraz SMC 2022 (CADTH – warunek obniżenia kosztu leku).
- Pozytywne rekomendacje kliniczne.
- Refundacja w większości krajów członkowskich Unii Europejskiej.
- Brak efektywności kosztowej wnioskowanego leku.

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.4231.68.2022 „Wniosek o objęcie refundacją leku Opdivo (niwolumab) w ramach programu lekowego: B.58. »Leczenie chorych na zaawansowanego raka przetyku i żołądka (ICD-10: C15-C16)«”; data ukończenia 15.03.2023 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia przedstawiciela pacjentów oraz eksperta przedstawiona w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Bristol-Myers Squibb Polska Sp. z o.o.).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Bristol-Myers Squibb 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 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: Bristol-Myers Squibb Polska Sp. z o.o.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 36/2023 z dnia 27 marca 2023 roku
w sprawie oceny leków Berinert 2000 i Berinert 3000 (ludzki inhibitor
C1-esterazy) we wskazaniu: leczenie zapobiegawcze chorych
z nawracającymi napadami dziedzicznego obrzęku
naczynioruchowego o ciężkim przebiegu (ICD-10: D 84.1)

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktów leczniczych:

- *Berinert 2000 (ludzki inhibitor C1-esterazy), proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 2000 j.m., 1 fiol. proszku + 1 fiol. rozp. 4 ml + 1 system do transferu 20/20 z filtrem + 1 zestaw do podawania, kod GTIN: 05909991363017,*
- *Berinert 3000 (ludzki inhibitor C1-esterazy), proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 3000 j.m., 1 fiol. proszku + 1 fiol. rozp. 6 ml + 1 system do transferu 20/20 z filtrem + zestaw do podawania, kod GTIN: 05909991363048,*

we wskazaniu: leczenie zapobiegawcze chorych z nawracającymi napadami dziedzicznego obrzęku naczynioruchowego o ciężkim przebiegu (ICD-10: D84.1), w ramach nowej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie.

Rada Przejrzystości proponuje pogłębienie instrumentu dzielenia ryzyka tak, aby koszt wnioskowanej technologii był podobny do obecnie refundowanego lanadelumabu.

Rada Przejrzystości nie zgłasza uwag do założeń programu.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Wrodzony dziedziczny obrzęk naczynioruchowy (HAE), stanowiący około 2% wszystkich przypadków obrzęku naczynioruchowego (zapadalność ok. 10 przypadków na 1 mln populacji ogólnej), jest rzadką chorobą polegającą na niedoborze inhibitora C1-esterazy, blokującego aktywację układu dopełniacza. W 80-90% HAE jest wywołany upośledzeniem syntezy i aktywności tego inhibitora (typ 1 HAE). Niedobór inhibitora C1-esterazy powoduje występujące samoistnie lub sprowokowane np. przez uraz, zabiegi inwazyjne, zakażenie, ciężę, poród, masywne, dobrze ograniczone, asymetryczne obrzęki tkanki podskórnej lub podśluzówkowej, w tym obejmujące gardło, krtań, jelita,

które mogą zagrażać życiu. Choroba objawia się zarówno u dzieci, jak i osób dorosłych. Liczba chorych w Polsce z HAE szacowana jest na 350-430 osób, a kilkanaście nowych przypadków jest diagnozowanych każdego roku. W postaci ciężkiej HAE obrzęki pojawiają się średnio 2-4 razy w miesiącu i wymagają zwykle ratunkowego podawania leków, w tym inhibitora C1-esterazy dożylnie.

Osoczopochodny ludzki inhibitor C1-esterazy (Berinert 2000/3000) jest lekiem zarejestrowanym w Polsce w 2018 roku, podawanym parenteralnie (najczęściej podskórnie co 3-4 dni) w celu uzupełnienia brakującego inhibitora i ustąpienia obrzęków albo zapobiegania ich powstawaniu.

Wskazanie wnioskowane jest [REDAKTOWANE] wskazanie rejestracyjne tj. Berinert 2000 i 3000 do wstrzykiwań podskórnych jest wskazany do stosowania w zapobieganiu napadom nawracającego HAE u młodzieży i pacjentów dorosłych z niedoborem inhibitora C1-esterazy. Zdefiniowano ciężki HAE jako występowanie przynajmniej [REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE] Finansowany ze środków publicznych Berinert 500/1500 nie ma rejestracji we wskazaniu profilaktyka długoterminowa napadów HAE.

Berinert 3000 nie był dotąd oceniany przez Agencję, natomiast Berinert 2000 oceniano w ramach importu docelowego u chorej z HAE w ciąży i uzyskał pozytywne stanowisko Rady Przejrzystości (stanowisko nr 24/2023 z 6.03.2023 r.).

We wskazaniu ICD-10: D84.1 oceniano produkt leczniczy Takhzyro (lanadelumab), który uzyskał negatywną opinię Rady Przejrzystości oraz Prezesa Agencji w 2020 roku. Jednak ten lek został objęty refundacją od 1. września 2021 roku jako jedyna technologia dostępna obecnie w programie lekowym B.122 „Leczenie zapobiegawcze chorych z nawracającymi napadami dziedzicznego obrzęku naczynioruchowego o ciężkim przebiegu (ICD-10: D84.1)”; od marca 2022 roku do 9 lutego 2023 roku leczono w Polsce 16 pacjentów za pomocą lanadelumabu podawanego podskórnie w dawce 300 mg co 2 tygodnie.

Eksperti kliniczni popierają refundację inhibitora C1-esterazy w omawianym wskazaniu, wskazując, że obecnie do 30% chorych z ciężkim HAE stosuje prewencyjnie Takhzyro (lanadelumab), ale nie kobiety w ciąży, które mogłyby skorzystać z refundacji Berinertu 2000/3000.

Dowody naukowe

Skuteczność i bezpieczeństwo profilaktyki długoterminowej napadów HAE oceniano w 2 badaniach z randomizacją tj. COMPACT (2017) porównujące Berinert 2000/3000 w dawce 60 IU podawanej 2 razy w tygodniu podskórnie z placebo oraz HELP (2018) porównujące lanadelumab z placebo. Inne dane na ten temat pochodzą z badania COMPACT-OLE (2019) stanowiącego fazę otwartą badania COMPACT, porównań pośrednich Berinertu 2000/3000 i lanadelumabu z doniesień konferencyjnych Fridman 2020 oraz z raportu EMA 2018. W badaniu COMPACT wykazano różnicę w liczbie napadów obrzęków w przebiegu HAE o -3,51 (96% CI 4,21;-2,81), $p < 0,001$, u leczonych inhibitorem C1-esterazy, a w badaniu HELP redukcja o 1,71 (95% CI 2,09;-1,33), $p < 0,001$. Ponadto w czasie 14 tygodni w badaniu COMPACT stosowanie Berinertu wiązało się mniejszym odsetkiem pacjentów z ciężkimi napadami HAE, niewystępowaniem napadów HAE z zajęciem krtani i poprawą jakości życia. W badaniu COMPACT-OLE w czasie obserwacji trwającej do 146 tygodni obserwowano średnio 5,4 napadu (SD: 10,3) rocznie w czasie stosowania Berinertu 2000/3000 w dawce 60 IU.

Dotąd nie opublikowano badań bezpośrednio porównujących Berinert 2000/3000 z aktywnym komparatorem, tj. lanadelumabem. Analiza porównawcza Fridmana (2020) wykazała podobną skuteczność osoczopochodnego inhibitora C1-esterazy i lanadelumabu we względnej redukcji ryzyka wystąpienia napadów HAE w porównaniu z placebo oraz większą redukcję liczby bezwzględnej napadów u chorych, u których stosowano ocenianą technologię.

Co do kobiet w ciąży lub karmiących piersią, dostępne dane wskazują, że Berinert 2000/3000 jest skuteczne w tej grupie, a ciąża jest czynnikiem znacznie zwiększającym ryzyko napadów HAE i ciężkiego ich przebiegu.

Działania niepożądane osoczopochodnego inhibitora C1-esterazy w postaci podskórnej występują dość często ale były łagodne, obejmując najczęściej reakcję w miejscu wkłucia, zapalenie błony śluzowej nosa i gardła, nadwrażliwość, świąd, wysypka i pokrzywka, zawroty głowy. W badaniach z randomizacją nie odnotowano ciężkich zdarzeń niepożądanych ani zgonów związanych z ocenianą technologią. Także dane z codziennej praktyki wskazują, że stosowanie Berinertu w postaci dożylniej jest bezpieczne u kobiet w ciąży.

Aktualne wytyczne praktyki klinicznej opracowane przez WAO/EAACI 2021 oraz ESID/ERN RITA 2020 jako leczenie z wyboru w wnioskowanym wskazaniu zalecają stosowanie osoczopochodnego inhibitora C1-esterazy (Berinert 2000/3000, Cinryze), lanadelumabu (Takhzyro), lub berotralstatu (Orladeyo – nierefundowany w Polsce), ale u kobiet w ciąży lub karmiących piersią rekomenduje się tylko Berinert zarejestrowany także do stosowania w tej populacji w odróżnieniu od 2 innych technologii wymienionych w wytycznych. Także polskie wytyczne PTA 2018 rekomendują stosowanie Berinertu

w profilaktyce długoterminowej napadów HAE. Jako leki drugiego wyboru wskazuje się androgeny (danazol, stanozolol), które są przeciwwskazane w ciąży.

Problem ekonomiczny

Analiza ekonomiczna wskazuje, że stosowanie osoczopochodnego inhibitora C1-esterazy (Berinert 2000/3000) w porównaniu z refundowanym obecnie tym wskazaniu lanadelumabem (Takhzyro), jest droższe i skuteczniejsze. Zaproponowano instrument dzielenia ryzyka

. Objęcie refundacją ocenianej technologii lekowej wiąże się z dodatkowymi kosztami z perspektywy NFZ i wspólnej.

Główne argumenty decyzji

Ludzki inhibitor C1-esterazy jest produktem leczniczym o potwierdzonej skuteczności i bezpieczeństwie w HAE, ale droższą niż lanadelumab refundowany we wnioskowanym wskazaniu.

Prewencja napadów HAE u kobiet w ciąży i karmiących piersią, która powinna być prowadzona za pomocą wnioskowanej technologii zgodnie z rejestracją produktu leczniczego, jest niezaspokojoną potrzebą zdrowotną.

Uwagi Rady

Koszt wnioskowanej technologii powinien być podobny do kosztu refundowanego obecnie w tym wskazaniu, lanadelumabu.

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.4231.69.2023 „Wniosek o objęcie refundacją leków Berinert 2000 i Berinert 3000 (ludzki inhibitor C1-esterazy) we wskazaniu: »Leczenie zapobiegawcze chorych z nawracającymi napadami dziedzicznego obrzęku naczynioruchowego o ciężkim przebiegu (ICD-10: D 84.1)«”; data ukończenia 16 marca 2023 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia przedstawiciela pacjentów przedstawiona w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy CSL Behring GmbH.

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem CSL Behring GmbH 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: CSL Behring GmbH.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 37/2023 z dnia 27 marca 2023 roku
w sprawie oceny leku Tukysa (tukatynib) w ramach programu
lekowego „Leczenie chorych na raka piersi (ICD-10 C50)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktów leczniczych:

- *Tukysa (tukatynib), tabletki powlekane, 50 mg, 88 tabl., kod GTIN: 08720295000173,*
- *Tukysa (tukatynib), tabletki powlekane, 150 mg, 84 tabl., kod GTIN: 08720295000180,*

*w ramach programu lekowego „Leczenie chorych na raka piersi (ICD-10 C50)”,
w ramach nowej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie.*

Rada Przejrzystości wskazuje na konieczność obniżenia kosztów leku co najmniej do poziomu zapewniającej efektywność kosztową jak również określenia maksymalnych wydatków płatnika publicznego.

Rada zgłasza następujące uwagi do projektu programu lekowego:

- 1) *Kryterium kwalifikacji „tukatynib w skojarzeniu z trastuzumabem i kapecytabiną w trzeciej lub czwartej linii leczenia przerzutowego raka piersi, a w drugiej tylko w przypadku gdy była stosowana terapia przedoperacyjna lub uzupełniająca anty-HER2. Podanie tukatynibu wymaga zastosowania wcześniej leczenia 2 liniami anty-HER2.” – powinny zostać jaśniej sformułowany w sposób bezpośrednio korespondujący z zapisami CHPL poprzez dodanie sformułowania „**co najmniej** 2 liniami anty-HER2”;*
- 2) *W związku z faktem, iż jest to terapia złożona sposób monitorowania (interwały czasowe) powinny zostać zunifikowane dla wszystkich składowych schematu.*

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Minister Zdrowia zlecił przygotowanie analizy weryfikacyjnej AOTMiT, stanowiska Rady Przejrzystości oraz rekomendacji Prezesa AOTMiT w przedmiocie objęcia refundacją produktów leczniczych Tukysa (tukatynib), tabletki powlekane, 50 mg i 150 mg w ramach programu lekowego „Leczenie chorych na raka piersi”.

Tukatynib jest selektywnym inhibitorem kinazy tyrozynowej HER2. Hamuje wzrost guzów zależnych od HER2 a skojarzenie tukatynibu i trastuzumabu wykazało wysoką aktywność przeciwnowotworową w warunkach *in vitro* i *in vivo*. Zgodnie z dokumentacją rejestracyjną tukatynib jest wskazany do stosowania w skojarzeniu z trastuzumabem i kapecytabiną w leczeniu dorosłych pacjentów z HER2-dodatnim miejscowo zaawansowanym rakiem piersi lub HER2-dodatnim rakiem piersi z przerzutami, którzy otrzymali co najmniej 2 schematy leczenia skierowanego przeciwko receptorowi HER2 w przeszłości. Zgodnie z wnioskiem proponowane jest stosowanie tukatynibu w skojarzeniu z trastuzumabem i kapecytabiną w trzeciej lub czwartej linii leczenia przerzutowego raka piersi, a w drugiej tylko w przypadku gdy była stosowana terapia przedoperacyjna lub uzupełniająca anty-HER2. Podanie tukatynibu wymaga zastosowania wcześniej leczenia 2 liniami anty-HER2.

Nowotwór złośliwy piersi (ICD-10: C50) to nowotwór złośliwy wywodzący się z nabłonka przewodów lub zrazików gruczołu sutkowego, rozwijający się miejscowo oraz dający przerzuty do węzłów chłonnych oraz narządów wewnętrznych (np. płuc, wątroby, kości i mózgu). Rokowanie zależy przede wszystkim od wczesnego wykrycia nowotworu, jego typu i stopnia zaawansowania. 85% nawrotów występuje w ciągu pierwszych 5 lat po leczeniu. Odsetki 5-letnich przeżyć w zależności od stopnia zaawansowania: I – 95%, II – 50%, III – 25%, IV – <5%. Średni odsetek 5-letnich przeżyć w Polsce wynosi 74%. Nadmierna ekspresja białka HER2 lub amplifikacja genu HER2 (nazywane cechą HER2+) historycznie stanowiły niekorzystny czynnik rokowniczy jednak po wprowadzeniu leczenia anty-HER2 rokowanie jest porównywalne z rakami HER2-.

Dowody naukowe

Dane kliniczne pochodzące z podwójnie zaślepionego, randomizowanego badania HER2CLIMB, w którym w populacji pacjentów z HER2+ przerzutowym rakiem piersi, leczonych wcześniej trastuzumabem, pertuzumabem oraz trastuzumabem emtanzyną otrzymujących trastuzumab (TRA) i kapecytabinę (KAP) stosowano tukatynib (TUK) lub placebo (PLC) (publikacja Murthy 2020, data odcięcia danych: 4.09.2019 r., mediana okresu obserwacji: 14 miesięcy). Dodatkowe dane pochodzą z dłuższego okresu obserwacji (publikacja Curigliano 2021, analiza post-hoc, data odcięcia danych: 8.02.2021 r., mediana okresu obserwacji 29,6 miesięcy). Przerzuty do mózgu stwierdzano w podobnym odsetku pacjentów w obu grupach (48% w grupie TUK+TRA+KAP oraz 46% w grupie PLC+TRA+KAP). Analiza jakości życia pacjentów i efektywności leczenia TUK w podgrupie pacjentów z przerzutami do mózgu pochodzą z odpowiednio z publikacji Mueller 2021 oraz Lin 2020.

Wyniki badań wykazały, że stosowanie TUK (+ KAP + TRA) w porównaniu z PLC (+ KAP + TRA) wiąże się z redukcją ryzyka progresji lub zgonu o ok. 46% (HR=0,54

(95% CI, 0,42; 0,71)); redukcją ryzyka zgonu o ok. 34% (HR=0,66 (95% CI: 0,50; 0,88)); 2,3 krotnie większą szansą uzyskania obiektywnej odpowiedzi na leczenie (OR=2,31 (95%CI: 1,52; 3,51)). Mediana PFS wyniosła 7,8 miesiąca w grupie badanej oraz 5,6 miesiąca w grupie kontrolnej. Mediana OS wyniosła odpowiednio 21,9 miesiąca w grupie TUK + KAP + TRA i 17,4 miesiąca w PLC + KAP + TRA. Oszacowany wskaźnik 24-mies OS wyniósł 44,9% w grupie badanej oraz 26,6% w grupie kontrolnej. Wyniki końcowej analizy przeżycia (Curigliano 2021) pozostają zgodne z wynikami analizy pierwotnej. Brak istotnie statystycznych różnic między grupami obserwowano w zakresie ryzyka wystąpienia pogorszenia jakości życia ocenianej z wykorzystaniem skali EQ-5D-VAS. Istotną statystycznie różnicę w jakości życia na korzyść ocenianej interwencji raportowano w podgrupie chorych z przerzutami do mózgu. Dodatkowa analiza w podgrupie chorych z przerzutami do mózgu wykazała przewagę tukatynibu w porównaniu z placebo w zakresie przeżycia wolnego od progresji choroby w OUN, przeżycia całkowitego oraz obiektywnej odpowiedzi wewnątrzczaszkowej. Przeprowadzona analiza sieciowa porównująca skuteczność TUK + KAP + TRA w porównaniu z, lapatynibem w skojarzeniu z kapecytabiną (LAP + KAP), winorelbiną (WIN) i kapacytabiną (KAP) w ocenianej populacji wykazała istotną statystycznie przewagę ocenianej technologii nad komparatorami pod względem wpływu na PFS, OS i ORR. Brak IS różnic w zakresie analizowanych punktów końcowych wykazano w porównaniu z trastuzumabem emtanzyną (T-DM1).

Dostępne dane dotyczące bezpieczeństwa wskazują, że zastosowanie tukatynibu w miejsce placebo skutkowało wyższym ryzykiem wystąpienia zdarzeń niepożądanych związanych z leczeniem (TEAE) zarówno ogółem jak i zdarzeń prowadzących do modyfikacji dawkowania. Nie stwierdzono natomiast istotnych statystycznie różnic w odniesieniu między innymi do zgonów związanych z wystąpieniem zdarzeń niepożądanych, TEAE o ≥ 3 stopniu nasilenia oraz ciężkich TEAE ogółem. Do najczęściej raportowanych zdarzeń niepożądanych związanych z zastosowaniem tukatynibu ($\geq 20\%$ pacjentów w ramieniu TUK) należały: biegunka, zespół erytrodyzestezji dłoniowo-podeszwowej, nudności, zmęczenie, wymioty, obniżenie apetytu, zapalenie jamy ustnej, ból głowy, zwiększona aktywność AspAT, zwiększona aktywność AlAT oraz anemia.

W aktualnych rekomendacjach klinicznych dotyczących leczenia HER2+ raka piersi NCCN 2023, ESMO 2021 oraz PTOK 2020 odniesiono się do kwestii stosowania tukatynibu. W rekomendacjach ESMO 2021 wskazano, iż schemat tukatynib + trastuzumab + kapecytabina może być zastosowany w leczeniu drugiego rzutu u wybranych pacjentów z przerzutami do mózgu. Ponadto tukatynib-kapecytabina-trastuzumab, trastuzumab derukstekan oraz T-DM1 są wymienione jako najbardziej aktywne opcje terapii trzeciego rzutu. Wytyczne NCCN 2023 wskazują, że leczenie schematem tukatynib + trastuzumab +

kapecytabina jest preferowaną terapią w trzeciej linii. Może być również stosowany jako opcja dla terapii drugiej linii. Według polskich wytycznych (PTOK 2020) najskuteczniejszym postępowaniem w drugiej i kolejnych liniach leczenia uogólnionego raka piersi HER2+ jest zastosowanie koniugatu trastuzumabu emtanzyny (T-DM1). W dalszych liniach leczenia można rozważyć zastosowanie skojarzenia lapatynibu z kapecytabiną lub trastuzumabem, trastuzumabu z kapecytabiną i tukatynibem lub trastuzumab derukstekan.

Problem ekonomiczny

Przeprowadzona analiza ekonomiczna (analiza użyteczności kosztów, dożywotni, 20 letni horyzont czasowy) wykazała, że stosowanie TUK+TRA+KAP w porównaniu z T-DM1, LAP+KAP, KAP lub WIN jest droższe i skuteczniejsze. Oszacowany ICUR dla wszystkich porównań, niezależnie od zastosowania RSS, znacznie przekracza ustawowy próg. Wyniki analizy wrażliwości potwierdzają wyniki analizy podstawowej – terapia TUK+ TRA + KAP jest terapią droższą i skuteczniejszą od komparatorów i równocześnie jest nieefektywna kosztowo dla wszystkich porównań.

Analiza wpływu na budżet wskazuje, że objęcie refundacją wnioskowanej technologii będzie wiązać się ze bardzo wysokimi obciążeniami dla płatnika publicznego. Analiza wrażliwości wskazuje na możliwość znaczącego wzrostu obciążeń w zależności od dynamiki przejmowania rynku przez tukatynib. Należy zauważyć, że oszacowania liczebności populacji docelowej obarczone są znacznym ryzykiem niepewności.

Zidentyfikowano 3 pozytywne (SMC, HAS, G-BA), 3 warunkowo pozytywne (NICE, ZN, CATDH) i jedną negatywną (PBAC) rekomendacją refundacyjną dotyczące ocenianej technologii medycznej. Wszystkie rekomendacje (zarówno pozytywne jak i negatywne) wskazują na korzyści kliniczne płynące z zastosowania tukatynibu. Powodem warunkowych i negatywnej rekomendacji były nieakceptowalnie wysokie koszty terapii, z rekomendacją obniżenia ceny leku o co najmniej 65% (ZN).

Główne argumenty decyzji

Tukatynib jest lekiem o znaczącej aktywności w analizowanej populacji z akceptowalnym profilem bezpieczeństwa. Schematy z tukatynibem są rekomendowane w najnowszych wytycznych klinicznych, zarówno w polskich jak i zagranicznych. Rekomendacje refundacyjne są w większości pozytywne. Zwraca uwagę brak efektywności kosztowej jak i bardzo wysokie obciążenia budżetu płatnika.

Podsumowując Rada uznaje finansowanie technologii za zasadne pod warunkiem bardzo znaczącej redukcji ceny, co najmniej do poziomu zapewniającej efektywność kosztową jak również określenia maksymalnych wydatków płatnika publicznego.

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.4231.70.2022 „Wniosek o objęcie refundacją leku Tukysa (tukatynib) w ramach programu lekowego: »Leczenie chorych na raka piersi (ICD-10 C50)«” ; data ukończenia 16.03.2023 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia przedstawiciela pacjentów/eksperta przedstawiona w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.



Opinia Rady Przejrzystości

nr 44/2023 z dnia 27 marca 2023 roku

w sprawie zasadności zmiany kategorii dostępności refundacyjnej produktów leczniczych zawierających substancję czynną sorafenib

Rada Przejrzystości uważa za zasadne przeniesienie produktów leczniczych zawierających substancję czynną sorafenib z programów lekowych:

- *B.5 Leczenie chorych na raka wątrobowokomórkowego (ICD-10: C22.0),*
- *B.10 Leczenie pacjentów z rakiem nerki (ICD-10: C64),*

do katalogu leków refundowanych w chemioterapii.

Rada wskazuje na zasadność uwzględnienia w warunkach refundacji zapisu z ChPL dla sorafenibu wskazującego, że w leczeniu raka wątrobowokomórkowego lek może być stosowany u chorych z zaburzeniami czynności wątroby łagodnego i umiarkowanego stopnia (stopień A lub B wg klasyfikacji Child-Pugh).

Uzasadnienie

Sorafenib jest stosowany u pacjentów z rozpoznaniem nieoperacyjnego miejscowo zaawansowanego lub przerzutowego raka wątrobowokomórkowego (HCC), którzy wcześniej nie zostali poddani systemowemu leczeniu z powodu HCC. Leczenie powinno być stosowane do czasu wystąpienia progresji nowotworu lub niepożądanych działań uniemożliwiających jego kontynuowanie. Wg obecnego programu lekowego jednym z kryteriów włączenia jest czynnościowy stan wątroby w kategorii A na podstawie oceny według klasyfikacji Child-Pugh. Wg ChPL leczenie może dotyczyć chorych z zaburzeniami czynności wątroby łagodnego i umiarkowanego stopnia (stopień A lub B wg klasyfikacji Child-Pugh). Wyniki analizy w wariancie podstawowym wskazują, że przeniesienie sorafenibu z programu lekowego B.5. do katalogu chemioterapii spowoduje spadek wydatków płatnika publicznego.

Wskazaniem do stosowania jest również nowotwór złośliwy nerki z wyjątkiem miedniczki nerkowej w stadium zaawansowanym, z korzystnym lub pośrednim rokowaniem wg IMDC, u chorych, u których nie zastosowano wcześniejszego leczenia systemowego z zastosowaniem inhibitorów kinaz tyrozynowych (nie dotyczy chorych z nietolerancją sunitynibu lub pazopanibu) i udokumentowano niepowodzenie leczenia cytokinami (nie dotyczy chorych z nietolerancją

sunitynibu lub pazopanib). Ponadto konieczne jest uprzednie usunięcie guza pierwotnego lub odstąpienie od nefrektomii potwierdzone na podstawie udokumentowanej decyzji konsylium multidyscyplinarnego.

Leczenie trwa do czasu wystąpienia progresji nowotworu (za wyjątkiem oligoprogresji – zgodnie z definicją w załączniku B.10.) lub działań niepożądanych uniemożliwiających jego kontynuowanie.

Należy zauważyć odchodzenie od terapii sorafenibem ze względu na dostępność innych terapii w I linii leczenia, co widać również w spadku liczby pacjentów leczonych w ramach PL w latach 2014-2021.

Wyniki analizy w wariancie podstawowym wskazują, że przeniesienie sorafenibu z programu lekowego B.10. do katalogu chemioterapii spowoduje podobnie jak w odniesieniu do HCC spadek wydatków płatnika publicznego.

Kryteria kwalifikacji w proponowanym załączniku do katalogu chemioterapii są zgodne ze wskazaniem rejestracyjnym Sorafenibu.

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.422.0.3.2023 „Opracowanie dotyczące oceny zasadności zmiany kategorii dostępności refundacyjnej produktów leczniczych zawierających substancję czynną sorafenib”; data ukończenia: 23 marca 2023 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 45/2023 z dnia 27 marca 2023 roku
w sprawie zasadności objęcia refundacją produktów leczniczych
zawierających substancję czynną sunitynib we wskazaniach
pozarejestacyjnych

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktów leczniczych zawierających substancję czynną sunitinibum u dorosłych pacjentów z histologicznie potwierdzonym:

- *zaawansowanym lub przerzutowym nieoperacyjnym mięsakiem pęcherzykowym (alveolar soft part sarcoma),*
- *samotnym guzem włóknistym (solitary fibrous tumor),*
- *a także u wcześniej poddanych chemioterapii pacjentów z mięsakiem naczyniowym (angiosarcoma) w stadium miejscowego zaawansowania lub uogólnienia – przy braku możliwości radykalnego leczenia chirurgicznego.*

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną sunitynib, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego tj. w leczeniu mięsaków tkanek miękkich.

Uzasadnienie

Sunitynib dostępny jest dla pacjentów, w ramach programu lekowego B.8 Leczenie mięsaków tkanek miękkich (ICD-10 C48, C49) w rozpoznaniu histologicznym mięsaka pęcherzykowatego (alveolar soft part sarcoma) w stadium miejscowego zaawansowania lub uogólnienia - przy braku możliwości radykalnego leczenia chirurgicznego (udokumentowana kwalifikacja wielospecjalistyczna z udziałem onkologa klinicznego, onkologa radioterapeuty i chirurga onkologa).

Powyższe wskazanie zostało ocenione przez Agencję w 2019 i 2022 roku, w związku z czym obowiązująca jest opinia Rady Przejrzystości nr 79/2022 z dnia 16 maja 2022 roku w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną sunitynib we wskazaniu: leczenie mięsaków tkanek miękkich (ICD-10 C48, C49): mięsak pęcherzykowaty (alveolar soft part sarcoma) w stadium miejscowego zaawansowania lub uogólnienia przy braku możliwości

*radikalnego leczenia chirurgicznego u pacjentów w wieku 18 lat i powyżej.
Opinia obowiązuje do 16.05.2025 r.*

Wytyczne ESMO 2021 wymieniają sunitynib jako opcję leczenia samotnych guzów włóknistych (solitary fibrous tumour), niezależnie od linii leczenia. W dokumencie nie odniesiono się do pozostałych typów mięsaków wskazanych do oceny, ujętych w załączniku.

Wytyczne PTOK 2017 oraz ESMO-EURACAN 2018 wskazują na możliwość stosowania sunitynibu w leczeniu mięsaków pęcherzykowatych tkanek miękkich. Analiza wpływu na budżet wykazała, że przeniesienie produktów zawierających sunitynib z programu lekowego do katalogu chemioterapii wraz z poszerzeniem kryteriów dla populacji docelowej, może przyczynić się do zwiększenia wydatków płatnika publicznego o około 90 tys. zł, które będą stabilizować się w kolejnych latach.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2022 r., poz. 2555 z późn. zm.), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2022 r., poz. 2561 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania nr: OT.422.1.25.2023 „Zmiany kategorii dostępności – przeniesienie produktów z programu lekowego do katalogu chemioterapii sunitynib z programu lekowego B.8”; data ukończenia 21.03.2023 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 46/2023 z dnia 27 marca 2023 roku
w sprawie zmian w opisie programu lekowego
B.8. „Leczenie mięsaków tkanek miękkich (ICD-10 C48, C49)”
dotyczących nowych wskazań terapeutycznych
dla trabektedyny oraz pazopanibu

Rada Przejrzystości uważa za zasadne wprowadzenie zmiany zapisów dla wskazań terapeutycznych dla trabektedyny oraz pazopanibu w programie lekowym B.8. „Leczenie mięsaków tkanek miękkich (ICD-10 C48, C49)”.

Uzasadnienie

Zmiany zapisów w załączniku do programu lekowego B.8. leczenie mięsaków tkanek miękkich (ICD-10 C48, C49) dokonywane są w związku z planowanym przeniesieniem leku zawierającego substancję aktywną sunitynib z ww. programu do katalogu leków refundowanych w chemioterapii.

Problem decyzyjny

Wprowadzenie zmian w zapisach programu lekowego B.8 powoduje zmiany w zakresie populacji pacjentów leczonych trabektedyną i pazopanibem oraz zmiany obciążenia budżetu płatnika publicznego.

Procedowane zmiany w programie w zakresie stosowania trabektedyny dotyczą poszerzenia populacji pacjentów objętych programem o mięsaki z wykazanymi translokacjami chromosomowymi oraz rozszerzenie kryteriów włączenia o pacjentów ze stanem sprawności ocenionym na 2 wg ECOG Usunięto zapis dotyczący należyjnej masy ciała pacjentów.

Procedowane zmiany w programie dotyczące pazopanibu dotyczą uproszczenia zapisów kwalifikacji do leczenia oraz rozszerzenie kryteriów włączenia o pacjentów ze stanem sprawności ocenionym na 2 wg ECOG.

Dowody naukowe

Rozszerzenie kwalifikacji o pacjentów z translokacjami chromosomowymi zostało zaproponowane z uwagi na publikację: Kawai A i wsp.: Trabectedin monotherapy after standard chemotherapy versus best supportive care in patients with advanced, translocation-related sarcoma: a randomised, open-label, phase 2 study. Lancet Oncol. 2015 Apr;16(4):406-16. doi: 10.1016/S1470-2045(15)70098-7. Epub 2015 Mar 18. PMID: 25795406.

Wytyczne kliniczne

Trabektedynę i pazopanib znajdują się w wytycznych klinicznych ESMO-EURACAN-GENTURIS dla mięsaków tkanek miękkich.

Wpływ na wydatki płatnika publicznego

Przeprowadzona przez analityków Agencji analiza wpływu na budżet wykazała, że wprowadzenie zmian w opisie programu lekowego B.8 na zasadzie rozszerzenia kryteriów dla populacji docelowej w głównej mierze dla trabektedyny (mięśaki związane z translokacją) oraz pazopanibu (uproszczenie zapisów kryteriów), może przyczynić się do zwiększenia wydatków płatnika publicznego, które będą stabilizować się w kolejnych latach.

Dodatkowe wydatki oszacowano na około trzech procent w pierwszym oraz pięciu procent w drugim roku obowiązywania decyzji dla pazopanibu. W przypadku trabektedyny dojdzie do znacznego wzrostu wydatków o mniej więcej 1/5 w pierwszym roku oraz ponad 50% w roku kolejnym.

Łączne obciążenie budżetu płatnika w wyniku wprowadzenia proponowanych zmian będzie skutkować dodatkowymi wydatkami w kwocie 5,23 mln zł w pierwszym i 12,4 mln zł w drugim roku.

Podsumowanie

Proponowana zmiana w opisie programu lekowego B.8. leczenie mięsaków tkanek miękkich (ICD-10 C48, C49) jest zgodna z wytycznymi klinicznymi i prowadzi do rozszerzenia możliwości stosowania dostępnych linii leczenia.

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.422.0.6.2023 „Zmiany w opisie programu lekowego trabektydyna i pazopanib w PL B.8”; data ukończenia 24.03.2023 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 47/2023 z dnia 27 marca 2023 roku
w sprawie zasadności przeniesienia produktów leczniczych
zawierających substancję czynną ewerolimus z programów lekowych
B.10 „Leczenie pacjentów z rakiem nerki (ICD-10: C64)” oraz
B.53 „Leczenie wysoko zróżnicowanego nowotworu
neuroendokrynnego trzustki (ICD-10 C25.4)” do katalogu
leków refundowanych w chemioterapii

Rada Przejrzystości uważa za zasadne przeniesienie produktów leczniczych zawierających substancję czynną ewerolimus z programów lekowych:

- *B.10 „Leczenie pacjentów z rakiem nerki (ICD-10: C64)”*,
- *B.53 „Leczenie wysoko zróżnicowanego nowotworu neuroendokrynnego trzustki (ICD-10 C25.4)”*

do katalogu leków refundowanych w chemioterapii.

Uzasadnienie

Wytyczne PTOK 2022 zalecają zastosowanie ewerolimusu w leczeniu raka nerkowokomórkowego, w drugiej linii leczenia po zastosowaniu terapii skojarzonej immunoterapią i inhibitorem kinazy tyrozynowej oraz w trzeciej linii u chorych z uogólnionym rakiem jasnokomórkowym nerki, po sekwencyjnym leczeniu i ipilimumabem z niwolumabem, a następnie kabozantynibem lub inhibitorem wielokinazowym i immunoterapii, a następnie kabozantynibem. Wytyczne zalecają stosowanie ewerolimusu w leczeniu nowotworu neuroendokrynnego trzustki.

W analizie przyjęto, że zmiana kategorii dostępności refundacyjnej będzie miała neutralny wpływ na liczebność populacji, na zasadzie zmiany administracyjnej. Zważywszy na liczbę pacjentów nowokwalifikowanych w ostatnich latach możliwy jest nieznaczny przyrost liczebności populacji leczonej ewerolimusem ogółem.

Przeniesienie produktów zawierających ewerolimus z programu lekowego do katalogu chemioterapii, może przyczynić się do oszczędności płatnika publicznego, które będą zwiększać się w kolejnych latach. Oszczędności

oszacowano na około 340-360 tys. zł zarówno w pierwszym jak i kolejnym roku obowiązywania decyzji.

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 opracowań nr: OT.422.0.2.2023, OT.422.1.24.2023 „Zmiany kategorii dostępności – przeniesienie produktów z programów lekowych do katalogu chemioterapii ewerolimus z programów lekowych B.10 oraz B.53”; data ukończenia 21.03.2023 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 48/2023 z dnia 27 marca 2023 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną
ewerolimus we wskazaniu pozarejestacyjnym

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną ewerolimus we wskazaniu pozarejestacyjnym: leczenie pacjentów z zaawansowanym rakiem nerkowokomórkowym i niepowodzeniem wcześniejszego leczenia z zastosowaniem immunoterapii albo immunoterapii i inhibitorów kinaz tyrozynowych.

Uzasadnienie

Powyższe wskazanie zostało ocenione przez Agencję w 2021 roku, w związku z czym obowiązująca będzie opinia Rady Przejrzystości nr 84/20212 z dnia 28 czerwca 2021 roku w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną ewerolimus we wskazaniu: III linia leczenia raka nerkowokomórkowego, w ramach Programu Lekowego B.10 „Leczenie raka nerki (ICD-10 C64)”. Opinia obowiązuje do 28.06.2024 r.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2022 r., poz. 2555 z późn. zm.), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2022 r., poz. 2561 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania nr: OT.422.0.2.2023, OT.422.1.24.2023 „Zmiany kategorii dostępności – przeniesienie produktów z programów lekowych do katalogu chemioterapii ewerolimus z programów lekowych B.10 oraz B.53” ; data ukończenia 21.03.2023 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 49/2023 z dnia 27 marca 2023 roku
o projekcie programu „Program rehabilitacji dla mieszkańców
Gminy Żary o statusie miejskim w wieku od 40 r.ż. do 64 r.ż.”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program rehabilitacji dla mieszkańców Gminy Żary o statusie miejskim w wieku od 40 r.ż. do 64 r.ż.”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

Projekt programu polityki zdrowotnej dotyczy rehabilitacji leczniczej zaplanowany do realizacji przez miasto Żary. Działania skierowane są do mieszkańców gminy w wieku od 40 do 64 ze wskazaniem medycznymi ujętymi w kryteriach włączenia do programu. Projekt zakłada przeprowadzenie indywidualnego planu rehabilitacji oraz działań z zakresu edukacji zdrowotnej. Program ma być realizowany w latach 2023-2025. Całkowity koszt realizacji oszacowano na 300 000 zł.

Zgodnie z Ustawą z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz.U. 2022 poz. 2561 z późn. zm.), na podstawie art. 9a, w celu zaspokajania potrzeb wspólnoty samorządowej w zakresie ochrony zdrowia jednostka samorządu terytorialnego (uwzględniając w szczególności mapę potrzeb zdrowotnych, wojewódzki plan transformacji oraz dostępność do świadczeń opieki zdrowotnej na obszarze województwa) może finansować dla mieszkańców tej wspólnoty świadczenia gwarantowane. Szczegóły dot. finansowania ww. świadczeń zostały określone w art. 9b ustawy. Należy podkreślić, że wszystkie zaplanowane przez wnioskodawcę interwencje fizykoterapeutyczne i kinezyterapeutyczne znajdują się w wykazie świadczeń gwarantowanych z zakresu rehabilitacji leczniczej zgodnie z Rozporządzeniem Ministra Zdrowia z dnia 6 listopada 2013 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu rehabilitacji leczniczej (Dz.U. 2021 poz. 265).

W ramach programu zaplanowano przeprowadzenie następujących interwencji:

- *indywidualny plan rehabilitacyjny,*
- *działania edukacyjne.*

Projekt zawiera opis etapów i działań podejmowanych w ramach programu. Pierwszym etapem będzie akcja informacyjna. Następnie przeprowadzona zostanie akcja edukacyjna. Kolejnym etapem będzie zaplanowanie postępowania rehabilitacyjnego oraz wykonanie zabiegów rehabilitacyjnych wraz z częścią edukacyjną dostosowaną do beneficjentów wymagających samodzielnego i systematycznego wykonywania ćwiczeń. Ostatnim etapem będzie przeprowadzenie oceny stanu zdrowia beneficjentów oraz oceny jakości świadczonych usług po zakończeniu cyklu rehabilitacyjnego.

Oceniany projekt zawiera stosowne referencje bibliograficzne oraz wykaz piśmiennictwa, na podstawie których przygotowana została treść problemu zdrowotnego.

W projekcie odwołano się do Mapy Potrzeb Zdrowotnych (MPZ) na lata 2022-2026 podkreślając, że w 2020 roku w województwie lubuskim było 89 podmiotów świadczących fizjoterapię ambulatoryjną lub domową, z czego 4 na terenie powiatu żarskiego, natomiast w ramach tych podmiotów 3 działały na terenie miasta Żary. Wskazano także, że najwięcej ośrodków na 100 tys. ludności w 2019 r. mieściło się w województwie podkarpackim (3,95), natomiast wartość dla całego kraju wyniosła 2,19. Podkreślono problem jakim jest mała liczba fizjoterapeutów pracujących w placówkach ochrony zdrowia. W województwie lubuskim liczba ta wynosiła 589 fizjoterapeutów (12,9 fizjoterapeuty na 100 tys. ludności) co umiejscawia województwo na ostatnim 16 miejscu w kraju.

Obecnie czas oczekiwania na realizację świadczeń z zakresu rehabilitacji leczniczej jest bardzo długi. Jedną z ważniejszych przyczyn opracowania niniejszego programu jest umożliwienie jak najszybszego rozpoczęcia usprawniania pacjentów tj. zastosowania zabiegów rehabilitacyjnych w momencie wystąpienia incydentu chorobowego, a nie kilka tygodni lub miesięcy później. Zgodnie z informacjami odnalezionymi przez analityka, w gminie Żary funkcjonuje 3 świadczeniodawców udzielających świadczeń z zakresu rehabilitacji leczniczej.

Program ma zostać sfinansowany ze środków gminy Żary, dotacji z budżetu państwa lub innych źródeł m.in. z NFZ – zakładające dofinansowanie 40% kosztów działań realizowanych w programie na podstawie art. 48d ust. 1 Ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych.

Uwagi Rady:

- Należy doprecyzować cel główny. Głównym założeniem projektu programu jest: „zahamowanie lub ograniczenie skutków procesów chorobowych wśród populacji objętej programem, w tym czynnej zawodowo poprzez rehabilitację co najmniej 5% beneficjentów w latach 2023-2025”. Warto wskazać, że cel główny powinien być wyraźnie zdefiniowany i precyzyjnie (w odniesieniu do planowanego czasu) wytyczony, a jego osiągnięcie powinno stanowić

potwierdzenie skuteczności zaplanowanych działań. Tymczasem cel główny został sformułowany w sposób zbyt ogólny – nie sprecyzowano na czym miałyby polegać zahamowanie lub ograniczenie skutków procesów chorobowych. Zbyt ogólne przedstawienie celu uniemożliwia prawidłowe dobranie mierników efektywności. Nie wskazano także uzasadnienia dla podanej wartości docelowej.

- *Należy doprecyzować cele szczegółowe. Wskazano 5 celów szczegółowych: (1) „zwiększenie liczby osób w wieku 40-64 lat objętych rehabilitacją”, (2) „zwiększenie liczby wykonywanych zabiegów u osób objętych programem”, (3) „poprawa sprawności i koordynacji ruchowej”, (4) „osiągnięcie możliwie najlepszego stanu funkcjonalnego”, (5) „wzmocnienie zdrowia pracujących”. Cele szczegółowe nr 1 i 2 zostały sformułowane nieprawidłowo, nie odnoszą się bezpośrednio do efektu zdrowotnego. Cele szczegółowe 3-5 zostały sformułowane w sposób zbyt ogólny. Należy również podkreślić, że w żadnym z przedstawionych celów nie wskazano wartości docelowych do jakich zamierza się dążyć. W projekcie programu wskazano, że do pomiaru parametrów określających osiągnięcie celu 3, 4, i 5 zastosuje się ankietę badającą stan sprzed i po interwencji. Do projektu załączono ww. ankietę. Należy zaznaczyć, że ankietę zawiera pytania o stan zdrowia, przekonania nt. korzyści zdrowotnych aktywności fizycznej, sprawność fizyczną, a także dolegliwości bólowe. Nie jest jasno wskazane, które pozycje odnoszą się do poszczególnych celów np. do „osiągnięcia możliwie najlepszego stanu funkcjonalnego”.*
- *W projekcie programu zaproponowano 5 mierników efektywności: (1) „odsetek beneficjentów programu objętych rehabilitacją”, (2) „odsetek wykonanych zabiegów”, (3) „odsetek pacjentów deklarujących poprawę sprawności i koordynacji ruchowej”, (4) „odsetek osób, u których uzyskano wzrost wiedzy z zakresu treści przekazanych w ramach edukacji zdrowotnej (różnica wyników między post-testem a pre-testem)”, (5) „odsetek pacjentów deklarujących utrzymanie lub zmianę stopnia choroby lub dolegliwości przed i po zastosowaniu leczenia”. Mierniki nr 1 i 2 nie spełniają funkcji mierników efektywności, natomiast mogą zostać wykorzystane podczas monitorowania. Miernik nr 3 i 5 są wyłącznie miernikami deklaracyjnymi i nie pozwolą na obiektywną ocenę poprawy sprawności pacjentów.*

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.431.6.2023 „Program rehabilitacji dla mieszkańców Gminy Żary o statusie miejskim w wieku od 40 r.ż. do 64 r.ż.” realizowany przez: Miasto Żary; data ukończenia marzec 2023.