



BP.401.19.2023.AG

**Protokół nr 19/2023
z posiedzenia Rady Przejrzystości
w dniu 15 maja 2023 roku**

Tomasz Pasierski otworzył posiedzenie o godzinie 10:06

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

1. Damian Czyżewski
2. Tomasz Hryniewiecki
3. Maciej Karaszewski
4. Dorota Kilańska
5. Marcin Lipowski
6. Tomasz Młynarski
7. Tomasz Pasierski
8. Tomasz Romańczyk
9. Janusz Szynkler
10. Monika Urbaniak

Proponowany porządek obrad:

1. Ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności włączenia e-stetoskopów na wykaz wyrobów medycznych na zlecenie w populacji dzieci z astmą przebiegającą z zaostrzeniami, z uwzględnieniem jej cięższych postaci, do użytku domowego.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Forxiga (dapagliflozinum), we wskazaniu: leczenie dorosłych pacjentów z rozpoznaną przewlekłą chorobą nerek z eGFR <60 ml/min/1.73m² oraz z albuminurią lub białkomoczem oraz leczenie terapią opartą na ACE-i/ARB nie krócej niż 4 tygodnie lub z przeciwwskazaniami do tych terapii.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Forxiga (dapagliflozinum), we wskazaniu: przewlekła niewydolność serca u dorosłych pacjentów z frakcją wyrzutową LVEF>40%, z przerostem lewej komory serca lub powiększeniem lewego przedsionka i stężeniem NT-proBNP ≥ 300 pg/ml (lub ≥ 600 pg/ml u chorych z migotaniem lub trzepotaniem przedsionków) oraz utrzymującymi się objawami choroby w klasie II-IV NYHA.
5. Przygotowanie opinii o projektach programów polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego:
 - 1) „Ortoptyczne badania diagnostyczne dzieci w wieku 5-8 lat na terenie Gminy Piaseczno”,
 - 2) „Rehabilitacja mieszkańców Gminy Kamieniec Ząbkowicki na lata 2023-2025”.
6. Przygotowanie opinii w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancje czynne:
 - 1) carboplatinum we wskazaniach:
 - nowotwór złośliwy przełyku (C15);
 - szyjna część przełyku (C15.0);
 - piersiowa część przełyku (C15.1);

- brzuszna część przełyku (C15.2);
 - górna trzecia część przełyku (C15.3);
 - środkowa trzecia część przełyku (C15.4);
 - dolna trzecia część przełyku (C15.5);
 - zmiana przekraczająca granice jednego umiejscowienia w obrębie przełyku (C15.8);
 - przełyk, umiejscowienie nieokreślone (C15.9).
- 2) paclitaxelum we wskazaniach:
- nowotwór złośliwy przełyku (C15);
 - szyjna część przełyku (C15.0);
 - piersiowa część przełyku (C15.1);
 - brzuszna część przełyku (C15.2);
 - górna trzecia część przełyku (C15.3);
 - środkowa trzecia część przełyku (C15.4);
 - dolna trzecia część przełyku (C15.5);
 - zmiana przekraczająca granice jednego umiejscowienia w obrębie przełyku (C15.8);
 - przełyk, umiejscowienie nieokreślone (C15.9);
 - nowotwór złośliwy odbytu i kanału odbytu (C21);
 - odbył, umiejscowienie nieokreślone (C21.0);
 - kanał odbytu; zmiana przekraczająca granice jednego umiejscowienia w obrębie odbytnicy, odbytu i kanału odbytu (C21.8).
7. Przygotowanie opinii w sprawie kontynuacji objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną fentanylum we wskazaniu: ból przebijający u dzieci z chorobą nowotworową, które w ramach leczenia przewlekłego bólu nowotworowego poddawane są opioidowej terapii podtrzymującej, a u których istnieją udokumentowane przeciwwskazania do stosowania innych krótkotrwale działających opioidów lub stwierdzono nieskuteczność tych leków.
8. Przygotowanie opinii w sprawie kontynuacji objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną desmopressinum we wskazaniu: pierwotne izolowane moczenie nocne u pacjentów pomiędzy 5-6 rokiem życia z prawidłową zdolnością zagęszczania moczu po udokumentowaniu nieskuteczności 1-miesięcznego postępowania wspomagającego i motywującego.
9. Zakończenie posiedzenia.

Ad 1. Tomasz Romańczyk zgłosił konflikt interesów w zakresie pkt 6 (1) i 7 porządku obrad, w związku z powyższym podczas głosowania jego głos liczony będzie jako wstrzymujący.

Żaden z pozostałych członków Rady nie zadeklarował konfliktu interesów.

Na wniosek członka Rady Prowadzący posiedzenie Rady zdecydował o zmianie kolejności omawiania tematów.

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

Zmieniony porządek obrad:

2. Przygotowanie opinii o projektach programów polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego:
 - 1) „Ortoptyczne badania diagnostyczne dzieci w wieku 5-8 lat na terenie Gminy Piaseczno”,
 - 2) „Rehabilitacja mieszkańców Gminy Kamieniec Żąbkowicki na lata 2023-2025”.
3. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności włączenia e-stetoskopów na wykaz wyrobów medycznych na zlecenie w populacji dzieci z astmą przebiegającej z zaostrzeniami, z uwzględnieniem jej cięższych postaci, do użytku domowego.

4. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Forxiga (dapagliflozinum), we wskazaniu: leczenie dorosłych pacjentów z rozpoznaną przewlekłą chorobą nerek z eGFR <60 ml/min/1.73m² oraz z albuminurią lub białkomoczem oraz leczenie terapią opartą na ACE-i/ARB nie krócej niż 4 tygodnie lub z przeciwwskazaniami do tych terapii.
5. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Forxiga (dapagliflozinum), we wskazaniu: przewlekła niewydolność serca u dorosłych pacjentów z frakcją wyrzutową LVEF>40%, z przerostem lewej komory serca lub powiększeniem lewego przedsionka i stężeniem NT-proBNP ≥ 300 pg/ml (lub ≥ 600 pg/ml u chorych z migotaniem lub trzepotaniem przedsionków) oraz utrzymującymi się objawami choroby w klasie II-IV NYHA.
6. Przygotowanie opinii w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancje czynne:
 - 1) carboplatinum we wskazaniach:
 - nowotwór złośliwy przełyku (C15);
 - szyjna część przełyku (C15.0);
 - piersiowa część przełyku (C15.1);
 - brzuszna część przełyku (C15.2);
 - górna trzecia część przełyku (C15.3);
 - środkowa trzecia część przełyku (C15.4);
 - dolna trzecia część przełyku (C15.5);
 - zmiana przekraczająca granice jednego umiejscowienia w obrębie przełyku (C15.8);
 - przełyk, umiejscowienie nieokreślone (C15.9).
 - 2) paclitaxelum we wskazaniach:
 - nowotwór złośliwy przełyku (C15);
 - szyjna część przełyku (C15.0);
 - piersiowa część przełyku (C15.1);
 - brzuszna część przełyku(C15.2);
 - górna trzecia część przełyku(C15.3);
 - środkowa trzecia część przełyku (C15.4);
 - dolna trzecia część przełyku (C15.5);
 - zmiana przekraczająca granice jednego umiejscowienia w obrębie przełyku (C15.8);
 - przełyk, umiejscowienie nieokreślone (C15.9);
 - nowotwór złośliwy odbytu i kanału odbytu (C21);
 - odbył, umiejscowienie nieokreślone (C21.0);
 - kanał odbytu; zmiana przekraczająca granice jednego umiejscowienia w obrębie odbytnicy, odbytu i kanału odbytu (C21.8).
7. Przygotowanie opinii w sprawie kontynuacji objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną fentanylum we wskazaniu: ból przebijający u dzieci z chorobą nowotworową, które w ramach leczenia przewlekłego bólu nowotworowego poddawane są opioidowej terapii podtrzymującej, a u których istnieją udokumentowane przeciwwskazania do stosowania innych krótkotrwale działających opioidów lub stwierdzono nieskuteczność tych leków.
8. Przygotowanie opinii w sprawie kontynuacji objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną desmopressinum we wskazaniu: pierwotne izolowane moczenie nocne u pacjentów pomiędzy 5-6 rokiem życia z prawidłową zdolnością zagęszczania moczu po udokumentowaniu nieskuteczności 1-miesięcznego postępowania wspomagającego i motywującego.
9. Zakończenie posiedzenia.

Ad 2. 1) Analityk Agencji omówił program polityki zdrowotnej gminy Piaseczno z zakresu ortoptycznych badań diagnostycznych dzieci w wieku 5-8 lat, a projekt opinii Rady przedstawiła Monika Urbaniak.

W dyskusji głos zabrali: Tomasz Pasierski, Monika Urbaniak, Dorota Kilańska, Janusz Szyndler, Marcin Lipowski, Maciej Karaszewski i Tomasz Romańczyk.

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

2) Analityk Agencji omówił program polityki zdrowotnej dot. rehabilitacja mieszkańców Gminy Kamieniec Ząbkowicki na lata 2023-2025, a projekt opinii Rady przedstawiła Dorota Kilańska.

W dyskusji głos zabrali: Tomasz Pasierski, Janusz Szyndler, Dorota Kilańska i Maciej Karaszewski.

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

Ad 3. Analityk Agencji podsumował raport w sprawie zasadności włączenia e-stetoskopów na wykaz wyrobów medycznych na zlecenie w populacji dzieci z astmą przebiegającej z zaostrzeniami, z uwzględnieniem jej cięższych postaci, do użytku domowego.

We wstępnej dyskusji głos zabrali: Tomasz Romańczyk, Tomasz Pasierski, Dorota Kilańska, Janusz Szyndler, Maciej Karaszewski i Tomasz Hryniewiecki.

Projekt opinii Rady przedstawił Tomasz Pasierski.

W dyskusji i formułowaniu końcowej wersji opinii Rady głos zabrali: Tomasz Romańczyk, Janusz Szyndler, Tomasz Pasierski, Monika Urbaniak i Maciej Karaszewski.

W związku z brakiem innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 8 głosami „za” przy 2 głosach „przeciw” uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 3 do protokołu).

Ad 4. Analityk Agencji omówił najważniejsze informacje z raportu dot. leku Forxiga (wniosek refundacyjny), we wskazaniu: leczenie dorosłych pacjentów z rozpoznaną przewlekłą chorobą nerek z eGFR <60 ml/min/1.73m² oraz z albuminurią lub białkomoczem oraz leczenie terapią opartą na ACE-i/ARB nie krócej niż 4 tygodnie lub z przeciwwskazaniami do tych terapii.

Projekt stanowiska Rady przedstawił Tomasz Romańczyk.

W dyskusji i formułowaniu końcowej wersji stanowiska Rady głos zabrali: Janusz Szyndler, Tomasz Romańczyk, Tomasz Pasierski, Maciej Karaszewski i Tomasz Hryniewiecki.

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

Ad 5. Analityk Agencji omówił najważniejsze kwestie z raportu dot. leku Forxiga (wniosek refundacyjny), we wskazaniu: przewlekła niewydolność serca u dorosłych pacjentów z frakcją wyrzutową LVEF>40%, z przerostem lewej komory serca lub powiększeniem lewego przedsionka i stężeniem NT-proBNP ≥ 300 pg/ml (lub ≥ 600 pg/ml u chorych z migotaniem lub trzepotaniem przedsionków) oraz utrzymującymi się objawami choroby w klasie II-IV NYHA.

Projekt opinii Rady przedstawił Tomasz Hryniewiecki.

W dyskusji głos zabrali: Tomasz Pasierski, Maciej Karaszewski i Janusz Szyndler.

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

Ad 6. Analityk Agencji podsumował opracowanie analityczne dot. objęcia refundacją leków zawierających substancje czynne:

- 1) carboplatinum we wskazaniach:

- nowotwór złośliwy przełyku (C15);
- szyjna część przełyku (C15.0);
- piersiowa część przełyku (C15.1);
- brzuszna część przełyku (C15.2);
- górna trzecia część przełyku (C15.3);
- środkowa trzecia część przełyku (C15.4);
- dolna trzecia część przełyku (C15.5);
- zmiana przekraczająca granice jednego umiejscowienia w obrębie przełyku (C15.8);
- przełyk, umiejscowienie nieokreślone (C15.9).

Projekt opinii Rady przedstawił Maciej Karaszewski.

W związku z brakiem głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 8 głosami „za”, przy 1 głosie „wstrzymującym” z uwagi na zgłoszony konflikt interesów uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 6 do protokołu).

2) paclitaxelum we wskazaniach:

- nowotwór złośliwy przełyku (C15);
- szyjna część przełyku (C15.0);
- piersiowa część przełyku (C15.1);
- brzuszna część przełyku(C15.2);
- górna trzecia część przełyku(C15.3);
- środkowa trzecia część przełyku (C15.4);
- dolna trzecia część przełyku (C15.5);
- zmiana przekraczająca granice jednego umiejscowienia w obrębie przełyku (C15.8);
- przełyk, umiejscowienie nieokreślone (C15.9);
- nowotwór złośliwy odbytu i kanału odbytu (C21);
- odbytu, umiejscowienie nieokreślone (C21.0);
- kanał odbytu;
- zmiana przekraczająca granice jednego umiejscowienia w obrębie odbytnicy, odbytu i kanału odbytu (C21.8).

Projekt opinii Rady przedstawił Damian Czyżewski.

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

Ad 7. Tomasz Młynarski przedstawił projekt opinii Rady dot. kontynuacji objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną fentanylum we wskazaniu: ból przebijający u dzieci z chorobą nowotworową, które w ramach leczenia przewlekłego bólu nowotworowego poddawane są opioidowej terapii podtrzymującej, a u których istnieją udokumentowane przeciwwskazania do stosowania innych krótkotrwanie działających opioidów lub stwierdzono nieskuteczność tych leków.

W związku z brakiem głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 9 głosami „za”, przy 1 głosie „wstrzymującym” z uwagi na zgłoszony konflikt interesów uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 8 do protokołu).

Ad 8. Marcin Lipowski przedstawił projekt opinii Rady w sprawie kontynuacji objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną desmopressinum we wskazaniu: pierwotne izolowane moczenie nocne u pacjentów pomiędzy 5-6 rokiem życia z prawidłową zdolnością zagęszczania moczu po udokumentowaniu nieskuteczności 1-miesięcznego postępowania wspomagającego i motywującego.

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

Ad 9. Zakończenie posiedzenia 13:32.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 94/2023 z dnia 15 maja 2023 roku
o projekcie programu „Ortoptyczne badania diagnostyczne dzieci
w wieku 5-8 lat na terenie Gminy Piaseczno”

Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Ortoptyczne badania diagnostyczne dzieci w wieku 5-8 lat na terenie Gminy Piaseczno”.

Uzasadnienie

Głównym założeniem PPZ jest „zwiększenie skuteczności wczesnego wykrywania wad wzroku w populacji dzieci w wieku 5-8 lat poprzez prowadzone w ramach programu badania przesiewowe na terenie gminy Piaseczno w roku 2023”.

Należy zaznaczyć, że cel główny powinien być wyraźnie zdefiniowany i precyzyjnie (w odniesieniu do planowanego czasu) wytyczony, a jego osiągnięcie powinno stanowić potwierdzenie skuteczności zaplanowanych działań. Zaplanowane w programie badania przesiewowe mają szansę przyczynić się do zwiększenia skuteczności wczesnego wykrycia istniejących wad wzroku i słuchu we wskazanej populacji. Cel główny nie zawiera podanej wartości docelowej, do której należy dążyć. Należy również zaznaczyć, że samo wykrycie wad wzroku nie przyniesie wymiernej poprawy stanu zdrowia pacjenta.

Populację docelową stanowią dzieci w wieku 5-8 lat zamieszkałe na terenie gminy Piaseczno, łącznie ok. 3 219 dzieci urodzonych w latach 2015-2018 (rok urodzenia: 2015 – 835 dzieci, 2016 – 808 dzieci, 2017 – 764 dzieci, 2018 – 812 dzieci). Dane przedstawione przez wnioskodawcę są zbliżone do informacji zamieszczonych na stronie internetowej GUS29. Na str. 13 projektu programu wskazano, że ze względu na ograniczenia finansowe oraz pilotażowy charakter programu do badań przesiewowych włączonych zostanie 170 dzieci, co stanowi 5,3% populacji docelowej.

Kryteria włączenia do badań przesiewowych to: wiek dziecka – 5-8 lat, zamieszkiwanie na terenie gminy Piaseczno, pisemna zgoda rodzica/opiekuna prawnego na udział w programie. Dodatkowo kryterium włączenia dla edukacji zdrowotnej rodziców to pozostawanie rodzicem/opiekunem prawnym dziecka w wieku 5-8 lat, objętego programem. Z uwagi na małą liczbę uczestników program powinien zapewnić sprawiedliwy dostęp do uczestnictwa.

Podkreślić należy, że zaplanowana przez wnioskodawcę populacja (dzieci w wieku 5-8 lat) jedynie częściowo znajduje odzwierciedlenie w rekomendacjach. Kryterium wyłączenia stanowią zdiagnozowana wada wzroku w wywiadzie, pozostawanie pod opieką poradni okulistycznej dla dzieci (weryfikacja na podstawie oświadczenia rodzica).

W ramach badania przesiewowego w kierunku wad wzroku u dzieci wskazano na pięć badań: badanie ostrości wzroku za pomocą optotypów (tablic obrazkowych/tablic Snellena), badanie widzenia obuocznego (test muchy), badanie ustawienia oraz ruchomości gałek ocznych, test naprzemiennego zasłaniania gałek ocznych (cover test), test zakrywania i odkrywania (cover uncover test). W treści projektu wskazano, że badanie przesiewowe wzroku przeprowadzone zostanie przez specjalistę (lub lekarza w trakcie specjalizacji) z dziedziny: okulistyka lub okulistyka dziecięca.

W PPZ zaplanowano również działania edukacyjne skierowane do rodziców/opiekunów prawnych dzieci z populacji docelowej. W treści projektu wskazano, że edukacja zdrowotna rodziców zostanie zaplanowana oraz prowadzona przez lekarza, pielęgniarkę, lub specjalistę ds. zdrowia publicznego z wykorzystaniem metody pogadanki oraz dyskusji. Edukacja poprowadzona zostanie indywidualnie, bezpośrednio przed badaniem przesiewowym wzroku u dziecka. Zaznaczono także, że obszar tematyczny edukacji zdrowotnej obejmie następujące tematy: znaczenie prawidłowego funkcjonowania narządu wzroku oraz konsekwencji nieleczonych wad wzroku, czynniki sprzyjające powstawaniu wad wzroku i ich znaczenie, sposób realizacji badań przesiewowych, prawdopodobieństwo występowania ubytku wzroku u dzieci, realizacja dalszych badań diagnostycznych w razie potrzeby. Podkreślono także, że zostanie przeprowadzone badanie poziomu wiedzy rodziców przy zastosowaniu pre-testu przed edukacją oraz post-testu po edukacji (min. 5 pytań zamkniętych). Ponadto wskazano, że edukacja zdrowotna zostanie zrealizowana za pomocą metod podających (tj. ulotki/plakaty informacyjne) w szkołach podstawowych znajdujących się na terenie gminy Piaseczno, w wybranym podmiocie leczniczym oraz Urzędzie Miasta i Gminy Piaseczno.

Okres realizacji programu zaplanowany został na lata 2023-2024. Należy jednak zaznaczyć, że na str. 18 projektu (w sekcji dotyczącej organizacji PPZ), wnioskodawca wskazał, że program zostanie zakończony w grudniu 2023 r. przeprowadzeniem ewaluacji. W pierwszym kwartale 2024 r. zaplanowano jedynie sporządzenie raportu końcowego. 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. 48 ust. 5 programy zdrowotne mogą być realizowane w okresie jednego roku lub wielu lat. W projekcie programu wskazano natomiast, że realizacja programu została zaplanowana na okres półroczny (III-IV kwartał 2023 r.).

Warto podkreślić, że badania przesiewowe w kierunku wad wzroku znajdują się w wykazie świadczeń gwarantowanych z zakresu podstawowej opieki zdrowotnej realizowanych przez lekarzy i pielęgniarki POZ oraz pielęgniarki/higienistki szkolnej.

W ramach oceny jakości świadczeń wskazano na przeprowadzenie ankiety satysfakcji. Do projektu dołączono wzór ww. ankiety satysfakcji, który nie budzi zastrzeżeń analityka. Dodatkowo uczestnicy będą mieli możliwość zgłaszania pisemnych uwag dot. realizacji programu.

Zgodnie z treścią PPZ ocena efektywności programu zostanie przeprowadzona okresowo i/lub końcowo poprzez: „określenie odsetka dzieci ze zdiagnozowaną w ramach programu wadą wzroku ze wskazaniem rodzaju schorzenia”, „analizę liczby dzieci, którym zlecono dalszą diagnostykę i/lub leczenie poza programem”, „określenie wpływu działań edukacyjnych na wiedzę i świadomość zdrowotną rodziców dzieci z populacji docelowej”. W zakresie wskaźnika dot. wzrostu wiedzy i świadomości, należy zaznaczyć, że „świadomość” jest bardzo ogólnym i niejednoznacznym konstruktem, którego obiektywny pomiar jest niemożliwy (w przeciwieństwie do pomiaru zmian w poziomie wiedzy, która ma szansę się zmienić na skutek realizacji działań edukacyjnych). Należy zaznaczyć, że ewaluacja programu powinna opierać się na porównaniu stanu sprzed wprowadzenia działań w ramach programu, a stanem po jego zakończeniu, co zostało zapisane w projekcie.

Wnioskodawca oszacował całkowity koszt PPZ na 26 318 zł. Program ma zostać sfinansowany ze środków własnych gminy Piaseczno.

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.431.13.2022 „Ortoptyczne badania diagnostyczne dzieci w wieku 5-8 lat na terenie Gminy Piaseczno” ; data ukończenia maj 2023 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 95/2023 z dnia 15 maja 2023 roku
o projekcie programu „Rehabilitacja mieszkańców
Gminy Kamieniec Żąbkowicki na lata 2023-2025”

Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Rehabilitacja mieszkańców Gminy Kamieniec Żąbkowicki na lata 2023-2025”.

Uzasadnienie

Głównym założeniem projektu programu jest „zahamowanie lub ograniczenie skutków procesów chorobowych dotyczących schorzeń układu kostno-stawowego, mięśniowego i tkanki łącznej, przywracanie sprawności wśród mieszkańców Gminy Kamieniec Żąbkowicki.

W celu głównym nie wskazano w jaki sposób i za pomocą jakich narzędzi będzie możliwe „zahamowanie” lub „ograniczenie” skutków procesów chorobowych dotyczących schorzeń układu kostno-stawowego, mięśniowego i tkanki łącznej, czy przywracanie sprawności.

W celach szczegółowych brak jest informacji w jaki sposób i za pomocą jakich procedur/technologii będzie możliwe osiągnięcie efektu, jak np. „zapobieganie nawrotom i postępowaniu choroby”, „usuwanie dolegliwości”; skąd będzie wiadomo, że „zwalczanie bólu” przyniosło oczekiwany skutek a „usprawnianie czynności poszczególnych narządów” dało oczekiwany efekt pod postacią np. zwiększenia ruchomości itp. Za pomocą jakich procedur będzie możliwe „zwalczanie stanów zapalnych”, czy też za pomocą czego będzie możliwa „rekonwalescencja po zabiegach chirurgicznych lub urazach”; jak osiągnie się „zwiększenie siły mięśniowej” (...). Cel powinien być nie tylko mierzalny, lecz wskazywać po co chcemy go osiągnąć i jakie procedury do tego doprowadzą. Tylko w taki sposób możemy zmierzyć efekt programu, na który przeznaczamy publiczne środki.

Dodatkowo w programie brak jest informacji na temat środków przeznaczonych na finansowanie wszystkich etapów wskazanych w projekcie.

Populację docelową programu stanowią mieszkańcy gminy Kamieniec Żąbkowicki. Przewiduje się, że co roku z zabiegów będzie mogło skorzystać ok. 400 osób, a kwalifikacja będzie się odbywała na podstawie rozmów z lekarzem. Interwencje, które będą realizowane nie zostały opisane.

Należy zauważyć, że wnioskodawca w opiniowanym obecnie wniosku nie uwzględnił większości uwag z poprzedniej opinii Prezesa AOTMiT z 2019 r. Wnioskodawca nie wskazał: liczby mieszkańców gminy ww. grupach wiekowych oraz przewidywanej liczby osób, jaka zostanie zakwalifikowana do programu; kosztów jednostkowych, czy narzędzi do oceny „znacznej poprawy stanu zdrowia”. W sposób zdawkowy odniesiono się również do informacji nt. warunków dotyczących personelu, wyposażenia i warunków lokalowych.

Kwota przewidziana na jednego uczestnika wydaje się być nieadekwatna do zaplanowanych interwencji.

Wniosek powinien zostać ponownie przygotowany, z uwzględnieniem Raportu AOTMiT i przesłany do ponownej oceny, jednakże pod warunkiem przesłania raportu z realizacji poprzedniej edycji programu.

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.431.14.2023 „Rehabilitacja mieszkańców Gminy Kamieniec Ząbkowicki na lata 2023-2025”; data ukończenia maj 2023 r. oraz aneksu „Programy z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży – wspólne podstawy oceny” z sierpnia 2016 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 96/2023 z dnia 15 maja 2023 roku
w sprawie zasadności włączenia e-stetoskopów
na wykaz wyrobów medycznych na zlecenie w populacji
dzieci z astmą, jej podejrzeniem lub mukowiscydozą

Rada Przejrzystości uważa za niezasadne włączenie na wykaz wyrobów medycznych na zlecenie e-stetoskopów, do użytku domowego, w populacji dzieci z astmą przebiegającej z zaostrzeniami, z uwzględnieniem jej cięższych postaci, a także w populacji:

- *dzieci z astmą, postaci umiarkowane i ciężkie, pacjenci z częstymi zaostrzeniami choroby (astma niekontrolowana);*
- *dzieci podejrzanych o astmę – pacjenci z nawrotowymi obturacyjnym zapaleniami oskrzeli;*
- *dzieci chorych na mukowiscydozę z dominującą postacią płucną.*

Uzasadnienie

Dotyczy zasadności rozszerzenia refundacji wyrobów medycznych wydawanych na zlecenie o elektroniczne stetoskopy w populacji:

- *dzieci z astmą przebiegającą z zaostrzeniami, z uwzględnieniem jej cięższych postaci, a także ewentualnie w populacji:*
 - *dzieci z astmą – postaci umiarkowane i ciężkie, pacjenci z częstymi zaostrzeniami choroby (astma niekontrolowana),*
 - *dzieci z podejrzeniem astmy – pacjenci z nawrotowymi obturacyjnymi zapaleniami oskrzeli,*
 - *dzieci chorych na mukowiscydozę z dominującą postacią płucną.*

Zidentyfikowano dwa wyroby medyczne, które spełniają następujące kryteria: do stosowania przez laików (zgodnie z pismem Ministra Zdrowia do użytku domowego), możliwość nagrywania dźwięków, przekazywania wyników do lekarza, funkcję analizy wyników na podstawie osłuchu posiadające oznakowanie CE: StethoMe z aplikacją StethoMe AI, oraz TytoCare (TytoHome) z aplikacją TytoApp i Tyto Insights. Żaden z wyrobów obecnie nie posiada certyfikatu zgodnego z rozporządzeniem MDR, wyroby posiadają oznakowanie CE i zostały dopuszczone do obrotu na podstawie dotychczas obowiązujących

dyrektyw MDD i AIMDD. [REDACTED]

Dowody naukowe

Stosowane e-stetoskopów przez laików- rodzinę chorego dziecka wraz z teletransmisją danych do lekarza powinno być ocenione jako całościowa technologia medyczna z uwzględnieniem ważnych klinicznie punktów końcowych jak hospitalizacje, zgony i jakość życia.

Jak do tej pory nie opublikowano badań wykazujących, że zastosowanie wnioskowanej technologii korzystnie wpływa na proces diagnostyczno-terapeutyczny.

Istnieje ryzyko, że oparcie się jedynie na tym urządzeniu skutkować może opóźnieniem lub nieudzieleniem wymaganej interwencji medycznej.

Eksperti krajowi najwyższego szczebla są przeciwni refundacji. Konsultant Krajowy w dziedzinie pediatrii wskazuje, że „(...) wprowadzenie w chwili obecnej e- stetoskopów jest przedwczesne, ponieważ urządzenie to nie jest w stanie określić stopnia obturacji drzewa oskrzelowego. Dotychczas nie były bowiem przeprowadzone w tym zakresie badania porównawcze ze spirometrią i oscylometrią impulsową.” Konsultant Krajowy w dziedzinie alergologii "nie widzi zastosowania dla stetoskopu elektronicznego, powiązanego z algorytmami analizującymi sygnały osłuchowe (...) Pacjenci z chorobami układu oddechowego, leczeni przez alergologów to najczęściej pacjenci chorzy na astmę, którzy praktycznie nie mają wskazań do długoterminowego korzystania ze stetoskopu elektronicznego.”

Problem ekonomiczny

Koszty stosowania technologii są niepewne. Mogą one przekraczać nawet [REDACTED] w pierwszym roku od wprowadzenia.

Główne argumenty decyzji

- Brak dowodów naukowych na skuteczność i bezpieczeństwo ocenianej technologii.
- Negatywna opinia ekspertów krajowych.
- Potencjalnie duże koszty dla płatnika publicznego.

Uwaga Rady

Potencjalne zastosowanie technologii jest obiecujące i na tyle duże, że zasługuje na kontrolowane badanie kliniczne finansowane przez ABM.

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.422.15.2023 „Ocena zasadności włączenia na wykaz wyrobów medycznych na zlecenie elektronicznych stetoskopów”; data ukończenia 12.05.2023 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy: StethoMe Sp. z o.o.; Ministerstwo Zdrowia

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem (nie dotyczy) o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy

Podstawa prawna wyłączenia jawności: art. 5 ust.1 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej Dz.U. 2020 poz. 2176 z późn. zm. w zw. z art. 11 ust. 4 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji Dz.U. 2020 poz. 1913 z późn. zm.).

Organ dokonujący wyłączenia jawności: Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: StethoMe Sp. z o.o.; Ministerstwo Zdrowia

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy: StethoMe Sp. z o.o.

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

Podstawa prawna wyłączenia jawności: art. 5 ust.1 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej Dz.U. 2020 poz. 2176 z późn. zm. w zw. z art. 11 ust. 4 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji Dz.U. 2020 poz. 1913 z późn. zm.).

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

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



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 51/2023 z dnia 15 maja 2023 roku
w sprawie oceny leku Forxiga (dapagliflozyna) we wskazaniu:
dorośli pacjenci z rozpoznaną przewlekłą chorobą nerek,
z eGFR <60ml/min/1,73 m², z albuminurią lub białkomoczem,
leczeni terapią opartą na ACE-i/ARB nie krócej niż 4 tygodnie
lub z przeciwwskazaniami do tych terapii

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktów leczniczych:

- *Forxiga (dapagliflozinum), tabletki powlekane, 10 mg, 30 tabl., kod GTIN: 05909990975884,*
- *Forxiga (dapagliflozinum), tabletki powlekane, 10 mg, 28 tabl., kod GTIN: 05909990975860,*

jako leków dostępnych w aptece na receptę, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie ich za odpłatnością 30%, we wskazaniu: dorośli pacjenci z rozpoznaną przewlekłą chorobą nerek, z eGFR <60ml/min/1,73 m², z albuminurią lub białkomoczem, leczeni terapią opartą na ACE-i/ARB nie krócej niż 4 tygodnie lub z przeciwwskazaniami do tych terapii, przy czym w populacji chorych ze wskaźnikiem ACR w zakresie od 30 do 199 mg/g jedynie w subpopulacji chorych z cukrzycą typu 2.

Z uwagi na potencjalnie duże obciążenie budżetu płatnika publicznego Rada Przejrzystości proponuje utrzymanie aktualnie obowiązującego instrumentu dzielenia ryzyka.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Dapagliflozyna (DAPA) jest bardzo silnym wybiórczym i odwracalnym inhibitorem SGLT2. Wnioskowane wskazanie stanowi rozszerzenie względem aktualnego nefrologicznego wskazania refundacyjnego dla dostępnej prezentacji doustnej leku (tj. tabl. powl., 10 mg, 30 tabl.)

dla pacjenta obowiązujących w ramach istniejącej grupy limitowej „251.0, Doustne leki przeciwcukrzycowe flozyny”. Wnioskowane

warunki objęcia refundacją obejmują także włączenie kolejnej prezentacji dapagliflozyny (tj. tabl. powł., 10 mg, 28 tabl.) do istniejącej grupy limitowej 251.0, Doustne leki przeciwcukrzycowe flozyny. Populacja wnioskowana to dorośli pacjenci ze współczynnikiem przesączania kłębuszkowego (eGFR) <60 ml/min/1,73 m², albuminurią lub białkomoczem, leczonych terapią opartą na inhibitorach konwertazy angiotensyny (ACEI) lub antagonistach receptora angiotensyny (ARB) nie krócej niż 4 tygodnie lub z przeciwwskazaniami do tych terapii.

Dapagliflozyna będzie terapią dodaną do dotychczas stosowanego leczenia. Albuminurię obecną w zapisach wskazania refundacyjnego zdefiniowano jako wskaźnik albumina/kreatynina ≥ 30 mg/g, a więc równocześnie z ułatwieniem preskrypcji wnioskowane jest rozszerzenie populacji o chorych ze wskaźnikiem albumina/kreatynina 30-199 mg/g. Wg ekspertów populacja tych chorych mieści się w zakresie między 10 tys. a 50 tys. osób.

Dowody naukowe

Głównym ograniczeniem oceny jest brak dokładnych danych klinicznych dla subpopulacji pacjentów z niskim ACR (30-199 mg/g), w związku z czym analiza oparta jest m.in. na połączeniu danych dla subpopulacji o podwyższonym ACR z danymi dla subpopulacji o niskim ACR [redacted], z rozbieżnościami obu badań m.in. w zakresie kryteriów włączenia i wykluczenia czy punktów końcowych.

Spośród 6 odnalezionych rekomendacji klinicznych tylko jedna – brytyjska UKKA 2021 odniosła się do możliwości stosowania SGLT-2 u pacjentów z PChN bez względu na współistnienie cukrzycy. Pozostałe organizacje NICE 2021, KDIGO 2012/2020, KDIGO 2022, Grupa Robocza Polskiego Towarzystwa Nefrologicznego ds. Zaburzeń Metabolicznych i Hormonalnych w Chorobach Nerek 2020, AHA 2020 i ERA/EDTA 2019 wskazują możliwość zastosowania SGLT-2 u pacjentów ze współistniejącą cukrzycą i PChN.

Autorzy rekomendacji NICE 2022 oraz SMC 2022 wskazywali na brak wystarczających dowodów skuteczności dapagliflozyny w populacji chorych ze wskaźnikiem ACR w zakresie od 30 do 199 mg/g przy braku jednoczesnego współwystępowania cukrzycy typu 2.

Wytyczne UKKA 2021 wskazały natomiast na możliwość stosowania inhibitorów SGLT-2 w populacji pacjentów z chorobą nerek (eGFR ≥ 25 ml/min/1,73 m²), zarówno z, jak i bez towarzyszącej cukrzycy typu 2. Leki z tej grupy rekomendowane są u pacjentów z UAC ≥ 25 mg/mmol, przy czym powinny być stosowane w skojarzeniu z pojedynczym lekiem blokującym układ renina-angiotensyna-aldosteron, jeśli nie ma do nich przeciwwskazań. Leczenie inhibitorami SGLT-2 powinno być kontynuowane do momentu rozpoczęcia dializoterapii lub przeszczepu nerki.

Ponadto wyniki dotyczące subpopulacji z ACR 30-200 mg/g przedstawione w analizie wnioskodawcy jak już wspomniano wyżej pochodzą z badania DECLARE-TIMI 58, w którym przewlekła choroba nerek nie stanowiła kryterium włączenia do badania oraz z badania efektywności praktycznej OPTIMIZE-CKD (Tangri 2022), którego wyniki są dostępne jedynie w postaci plakatu konferencyjnego.

Problem ekonomiczny

Zastosowanie produktu leczniczego Forxiga w skojarzeniu z leczeniem standardowym w miejsce samego leczenia standardowego jest droższe i skuteczniejsze. Oszacowany ICUR z perspektywy NFZ i wspólnej

znajdują się poniżej progu opłacalności, o którym mowa w ustawie o refundacji.

Podjęcie pozytywnej decyzji refundacyjnej dla produktu leczniczego Forxiga będzie wiązało się z dodatkowym obciążeniem budżetu płatnika publicznego, związanym z rozszerzeniem finansowania dapagliflozyny o 3,0 mln PLN, 4,9 mln PLN, 5,8 mln PLN i 6,5 mln PLN w kolejnych latach refundacji.

Główne argumenty decyzji

1. Wnioskowane wskazanie stanowi jedynie rozszerzenie względem aktualnego nefrologicznego wskazania refundacyjnego dla dostępnej prezentacji doustnej leku z zachowaniem limitu finansowania, ceny i poziomu odpłatności dla pacjenta obowiązujących w ramach istniejącej grupy limitowej 251.0.
2. Dodanie dapagliflozyny do standardowego leczenia w proponowanej rozszerzonej populacji jest efektywne klinicznie kosztowo w każdym z analizowanych scenariuszy.
3. DAPA zmniejsza śmiertelność, szczególnie z przyczyn sercowo-naczyniowych oraz hospitalizacje z powodu niewydolności serca u pacjentów z PChN i albuminurią, nietolerujących lub leczonych nieskutecznie ACEi lub ARB.

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 2023 r., poz. 826), 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.423.0.4.2023 „Wniosek o objęcie refundacją leku Forxiga (dapagliflozyna) we wskazaniu: dorośli pacjenci z rozpoznaną przewlekłą chorobą nerek, z eGFR <60ml/min/1,73 m², z albuminurią lub białkomoczem, leczeni terapią opartą na ACE-i/ARB nie krócej niż 4 tygodnie lub z przeciwwskazaniami do tych terapii”; data ukończenia 5 maja 2023 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (AstraZeneca AB).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem AstraZeneca AB 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: AstraZeneca AB.



Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 52/2023 z dnia 15 maja 2023 roku

w sprawie oceny leku Forxiga (dapagliflozyna) we wskazaniu:
przewlekła niewydolność serca u dorosłych pacjentów
z frakcją wyrzutową LVEF>40%, z przerostem lewej komory serca
lub powiększeniem lewego przedsionka i stężeniem NT-proBNP
≥ 300 pg/ml (lub ≥600 pg/ml u chorych z migotaniem
lub trzepotaniem przedsionków) oraz utrzymującymi się
objawami choroby w klasie II - IV NYHA

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktów leczniczych:

- Forxiga (dapagliflozinum), tabl. powl., 10 mg, 30 szt., GTIN: 05909990975884,
 - Forxiga (dapagliflozinum), tabl. powl., 10 mg, 28 szt., GTIN: 05909990975860,
- we wskazaniu: przewlekła niewydolność serca u dorosłych pacjentów z frakcją wyrzutową LVEF>40%, z przerostem lewej komory serca lub powiększeniem lewego przedsionka i stężeniem NT-proBNP ≥ 300 pg/ml (lub ≥ 600 pg/ml u chorych z migotaniem lub trzepotaniem przedsionków) oraz utrzymującymi się objawami choroby w klasie II-IV NYHA, jako leku dostępnego w aptece na receptę, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie ich za odpłatnością 30%.*

Z uwagi na potencjalnie duże obciążenie budżetu płatnika publicznego Rada Przejrzystości proponuje utrzymanie aktualnie obowiązującego instrumentu dzielenia ryzyka.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Niewydolność serca z zachowaną frakcją wyrzutową lewej komory (ang. heart failure with preserved ejection fraction, HFpEF; LVEF ≥50%, rozkurczowa niewydolność serca, choroba w której upośledzone jest napełnianie lewej komory, w wyniku czego pojemność minutowa jest utrzymywana kosztem podwyższonego ciśnienia napełniania. Niewydolność serca z umiarkowanie zmniejszoną frakcją wyrzutową (ang. heart failure with mid range ejection

fraction, HFmrEF; LVEF 41–49%) jest postacią zróżnicowaną, obejmującą chorych z dominującą dysfunkcją rozkurczową i towarzyszącą niewielką dysfunkcją skurczową, oraz uprzednio spełniających kryteria niewydolności serca ze zmniejszoną frakcją wyrzutową, a u których poprawiła się kurczliwość.

W ciągu roku umiera 50% chorych w IV klasie NYHA (ang. New York Heart Association). Śmiertelność w całej populacji chorych z PNS (niezależnie od etiologii) wynosi ~10% rocznie. W HFpEF roczną śmiertelność szacuje się na 5-8%. W HFmrEF śmiertelność jest mniejsza niż w HFrEF i podobna jak w HFpEF.

Prawidłowo, jako technologię alternatywną dla dapagliflozyny przyjęto terapię standardową, na którą składają się: diuretyki pętlowe, inhibitory konwertazy angiotensyny (ACEi), beta-adrenolityki, antagoniści receptora angiotensyny II (ARB) oraz antagoniści receptora mineralokortykoidów (MRA). Empagliflozyna (produkt Jardiance) jest obecnie przedmiotem procesu refundacyjnego we wskazaniu w zbliżonym do wnioskowanego (pozytywne stanowisko Rady Przejrzystości i Rekomendacja Prezesa Agencji), stanowi potencjalną technologię opcjonalną dla dapagliflozyny. Inhibitory SGLT2, w tym empagliflozyna są wskazane do stosowania u pacjentów z niewydolnością serca z zachowaną lub z łagodnie obniżoną frakcją wyrzutową przez najnowsze wytyczne AHA-ACC-HFSA 2022 (klasa wskazań IIa).

Dowody naukowe

Do analizy skuteczności włączono jedno międzynarodowe, wieloośrodkowe, randomizowane badanie DELIVER przeprowadzone metodą podwójnie ślepej próby, które oceniało skuteczność i bezpieczeństwo stosowania dapagliflozyny (DAPA, Forxiga) w dawce 10 mg/dobę dodanej do terapii standardowej (terapia typu „add on”) w porównaniu z placebo dodanego do terapii standardowej u dorosłych pacjentów z frakcją wyrzutową LVEF>40%, z przerostem lewej komory serca lub powiększeniem lewego przedsionka i stężeniem NT-proBNP ≥ 300 pg/ml (lub ≥ 600 pg/ml u chorych z migotaniem lub trzepotaniem przedsionków) oraz utrzymującymi się objawami choroby w klasie II-IV NYHA. Zgodnie z wynikami badania DELIVER zastosowanie DAPA w porównaniu z placebo w okresie obserwacji wynoszącym 2,3 roku (mediana) wiązało się z istotną statystycznie redukcją ryzyka wystąpienia złożonego punktu końcowego (I rzędowy punkt końcowy): pogorszenie HF (niewydolności serca) (nieplanowana hospitalizacja lub pilna wizyta z powodu HF) lub zgon z przyczyny sercowo-naczyniowej o 18% (HR=0,82 (95%CI: 0,73; 0,92). W badaniu DELIVER przeprowadzono ocenę złożonego punktu końcowego w podgrupach chorych w zależności m.in. od wieku, płci, poziomu białka NT-proBNP, cukrzycy typu 2, poziomu eGFR czy też poziomu LVEF. Zgodnie z wynikami analizy efekty zastosowania DAPA były spójne we wszystkich predefiniowanych podgrupach chorych. Zastosowanie DAPA w porównaniu z PLC w czasie obserwacji 2,3 roku (mediana) nie wiązało się z IS różnicą w zakresie ryzyka zgonu niezależnie

od przyczyny ($HR=0,94$ (95%CI: 0,83; 1,07)) oraz ryzyka zgonu z przyczyn sercowo-naczyniowych ($HR=0,88$ (95%CI: 0,74; 1,05)). Ponadto zastosowanie DAPA w analizowanym okresie (mediana 2,3 roku) wiązało się z istotnym statystycznie zmniejszeniem ryzyka hospitalizacji z powodu HF lub pilnej wizyty z powodu HF w porównaniu z grupą placebo o 21% ($HR=0,79$ (95%CI: 0,69; 0,91)), jak również z istotnym statystycznie zmniejszeniem ryzyka hospitalizacji z powodu HF w porównaniu z grupą placebo o 23% ($HR=0,77$ (95%CI: 0,67; 0,89)). W zakresie analizy bezpieczeństwa zastosowanie DAPA vs PLC w okresie obserwacji 2,3 roku (mediana) w analizowanej populacji pacjentów wiązało się z IS mniejszą częstością występowania zdarzeń niepożądanych powodujących pominięcie dawki łącznie ($OR= 0,86$ (95%CI: 0,75; 0,99) granica istotności statystycznej). W zakresie pozostałych punktów końcowych takich jak: poważne zdarzenia niepożądane, zdarzenia niepożądane powodujące przerwanie leczenia oraz zdarzenia niepożądane prowadzące do zgonu nie wykazano IS różnic pomiędzy ramionami badania. Ponadto wyniki badania DELIVER wskazują, że zastosowanie DAPA było związane z IS mniejszą częstością występowania następujących zdarzeń niepożądanych: zastoinowej niewydolności serca ($OR=0,69$ (95%CI: 0,48; 0,996)) oraz z IS częstszym występowaniem COVID-19 ($OR=1,27$ (95%CI:1,01; 1,61)).

Ze względu na trwający proces refundacyjny dla leku Jardiance (empagliflozyna), który może stanowić potencjalny komparator dla wnioskowanej technologii, porównano badania rejestracyjne dla produktów Forxiga (dapagliflozyna, badanie DELIVER) oraz Jardiance (empagliflozyna, badanie EMPEROR). Kryteria włączenia do badań DELIVER i EMPEROR różnią się w zakresie wieku pacjentów w czasie kwalifikacji: w badaniu DELIVER kwalifikowano pacjentów od 40 r.ż., a w badaniu EMPEROR od 18 r.ż., mediana wieku pacjentów w badaniach nie różni się. Ponadto do badania EMPEROR kwalifikowano pacjentów z poziomem NT-proBNP > 900 pg/ml u chorych z migotaniem przedsionków; podczas gdy w badaniu DELIVER kwalifikowano pacjentów z poziomem NT-proBNP ≥ 600 pg/ml u chorych z migotaniem przedsionków. Wyniki obydwu badań wskazują, że zarówno empagliflozyna, jak i dapagliflozyna IS redukują ryzyko wystąpienia pierwszorzędnego punktu końcowego (nieplanowana hospitalizacja z powodu niewydolności lub zgon z przyczyny sercowo-naczyniowej) w porównaniu z placebo. Natomiast w zakresie zgonu z przyczyny sercowo-naczyniowej oraz zgonu z jakiegokolwiek przyczyny nie wykazano IS różnic pomiędzy ramionami obydwu badań DAPA/EMPA w porównaniu z placebo.

Problem ekonomiczny

Lek Forxiga (dapagliflozyna, terapia dodana do postępowania standardowego) porównano z placebo (kontynuacja dotychczasowej terapii). Analizę przeprowadzono w dożywotnim (30-letnim) horyzoncie czasowym. Stosowanie DAPA w miejsce PLC jest droższe i skuteczniejsze.

Wartość ICUR znajduje się poniżej progu opłacalności, o którym mowa w ustawie o refundacji.

Podjęcie pozytywnej decyzji refundacyjnej dla produktu leczniczego Forxiga będzie wiązało się ze wzrostem wydatków z perspektywy płatnika publicznego o 20,9 mln PLN w I roku, 58,8 mln PLN w II roku, 89,5 mln PLN w III roku i 96,0 mln PLN w IV roku refundacji. Natomiast w perspektywie wspólnej (NFZ + pacjent) wydatki wyniosą 31,2 mln PLN, 87,9 mln PLN, 133,7 mln PLN i 143,5 mln PLN odpowiednio w czterech kolejnych latach refundacji. Podstawowym ograniczeniem analizy jest niepewność dotycząca liczebności populacji. Brak uwzględnienia w oszacowaniach zmian w zakresie chorobowości, niepewność danych dotyczących odsetka pacjentów, u których wykonywane jest oznaczenie NT-proBNP oraz potencjalny wzrost oznaczeń w przypadku refundacji DAPA we wnioskowanym wskazaniu, wiążą się z możliwym niedoszacowaniem liczebności populacji docelowej.

Nie odnaleziono rekomendacji refundacyjnych dotyczących leczenia chorych z przewlekłą niewydolnością serca z frakcją wyrzutową LVEF >40%. Publikacja rekomendacji NICE jest planowana na 21 czerwca 2023 r., zaś rekomendacja niemieckiego komitetu G-BA w sierpniu 2023 r.

W związku z dodatkowym zapisem zlecenia MZ, w którym wskazano, iż w związku z ocenianiem przez Agencję analogicznego wniosku dla empagliflozinum ocena powinna zawierać, opierającą się na wynikach klinicznych, propozycję ujednoliconego wskazania dla obu cząsteczek, w ramach przedmiotowej analizy weryfikacyjnej zanalizowano różnice wnioskowanych wskazań refundacyjnych dla produktów Forxiga (dapagliflozyna) i Jardiance (empagliflozyna) oraz możliwości zmian brzmienia wskazań. Oba leki zarejestrowane są w tożsamym wskazaniu: do stosowania u osób dorosłych w leczeniu objawowej przewlekłej niewydolności serca. Główne różnice dotyczą zakresu stężenia NT-proBNP u pacjentów z migotaniem lub trzepotaniem przedsionków (≥ 600 pg/ml – badanie DELIVER vs > 900 pg/ml – badanie EMPEROR). Na podstawie opinii większości ekspertów należy je ujednolicić do poziomu powyżej wartości 600 pg/ml.

Główne argumenty decyzji

1. Dodanie dapagliflozyny do standardowego leczenia w proponowanej rozszerzonej populacji chorych z niewydolnością serca jest efektywne klinicznie i kosztowo.
2. Wnioskowane wskazanie stanowi rozszerzenie względem aktualnego wskazania refundacyjnego, zgodne z wytycznymi towarzystw naukowych i opinią ekspertów.
3. Poza flozynami żadne leczenie w grupie docelowej nie jest skuteczne.

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 2023 r., poz. 826), 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.423.0.5.2023 „Wniosek o objęcie refundacją leku Forxiga (dapagliflozyna) we wskazaniu: przewlekła niewydolność serca u dorosłych pacjentów z frakcją wyrzutową LVEF>40%, z przerostem lewej komory serca lub powiększeniem lewego przedsionka i stężeniem NT-proBNP ≥ 300 pg/ml (lub ≥ 600 pg/ml u chorych z migotaniem lub trzepotaniem przedsionków) oraz utrzymującymi się objawami choroby w klasie II-IV NYHA”; data ukończenia 4 maja 2023 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy AstraZeneca AB.

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem AstraZeneca AB 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. 4 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: AstraZeneca AB



Opinia Rady Przejrzystości
nr 97/2023 z dnia 15 maja 2023 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną
carboplatinum w wybranych wskazaniach pozarejestacyjnych

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną carboplatinum we wskazaniach innych niż ujęte w Charakterystyce Produktu Leczniczego tj. wskazaniach dla kodów ICD-10:

- C15 – nowotwór złośliwy przełyku;
- C15.0 – szyjna część przełyku;
- C15.1 – piersiowa część przełyku;
- C15.2 – brzuszna część przełyku;
- C15.3 – górna trzecia część przełyku;
- C15.4 – środkowa trzecia część przełyku;
- C15.5 – dolna trzecia część przełyku;
- C15.8 – zmiana przekraczająca granice jednego umiejscowienia w obrębie przełyku;
- C15.9 – przełyk, umiejscowienie nieokreślone.

Uzasadnienie

Opinia dotyczy substancji czynnej karboplatyna we wskazaniu pozarejestacyjnym: nowotwór złośliwy przełyku i finansowania w ramach katalogu chemioterapii w nowym zakresie kodów ICD-10: C15; C.15.0; C15.3; C15.8; C15.9 oraz zmianie zakresu aktualnego wskazania dla kodów ICD-10: C15.1; C15.2; C15.4; C15.5.

Płaskonabłonkowy rak przełyku (ang. esophageal squamous cell carcinoma, ESCC/OSCC) jest nowotworem złośliwym wywodzącym się z komórek nabłonkowych, które wyściełają przełyk. Rak przełyku stanowi ok. 2% wszystkich nowotworów złośliwych, a najczęstszą jego postacią jest rak płaskonabłonkowy występujący w ok. 90% przypadków. Pozostałe 10% stanowi rak gruczolowy.

W Polsce rejestruje się rocznie około 1 450 przypadków raka przełyku (zapadalność 3,7/100 000/rok). Zachorowalność na raka płaskonabłonkowego w ostatnim okresie pozostaje na stałym poziomie, natomiast zachorowalność na gruczolaka przełyku szybko się zwiększa. Standaryzowany współczynnik

umieralności ASW wyniósł odpowiednio: 3,9/100 000 u mężczyzn oraz 0,7/100 000 u kobiet. Natomiast standaryzowany współczynnik zapadalności ESP 2013 wyniósł odpowiednio: 8,2/100 000 u mężczyzn i 1,6/100 000 u kobiet. W większości przypadków choroba zostaje rozpoznana już w stadium zaawansowanym, dlatego czas przeżycia wynosi zwykle jedynie kilka miesięcy, a średni odsetek 5-letnich przeżyć – 5-10%.

Leczeniem z wyboru wszystkich postaciach raka, które rozwinęły się w piersiowym lub brzuszny odcinku przełyku jest operacja. Dla nowotworów, które rozwinęły się w części szyjnej oraz u osób z przeciwwskazaniami do zabiegu operacyjnego leczeniem z wyboru jest radiochemioterapia.

Aktualnie karboplatyna w nowotworze przełyku jest refundowana w następujących wskazaniach:

- karboplatyna w skojarzeniu z paklitakselem w ramach wstępnej chemioterapii przed planowaną ezofagektomią z powodu raka przełyku,
- paklitaksel w leczeniu chorych z rozpoznaniem płaskonabłonkowego raka przełyku jedynie w przypadku skojarzenia chemioterapii (paklitaksel i karboplatyna) z napromieniowaniem podczas wstępnego leczenia przed postępowaniem radykalnym z udziałem chirurgicznego leczenia.

Według wytycznych NCCN 2023, preferowane schematy terapii systemowej w leczeniu nowotworu przełyku, w przypadku chemioradioterapii zarówno przedoperacyjnej, jak i definitywnej powinny opierać się na paklitakselu+karboplatynie lub fluorouracylu+oksaliplatynie. Wytyczne ESMO 2022 również rekomendują stosowanie chemioradioterapii przed- i okołoperacyjnej jako standard postępowania w miejscowo zaawansowanym gruczolakoraku przełyku i połączenia przełykowo-żołądkowe. Natomiast w przypadku definitywnej chemioterapii pierwszej linii, jako standardowe leczenie zaawansowanego nieleczzonego raka płaskonabłonkowego przełyku wskazano ogólnie schematy z platyną i fluoropirymidyną. Panel Ekspertów wydający rekomendacje ASCO 2020 uznał docetaksel, oksaliplatynę, leukoworynę i fluorouracyl (FLOT) za standardowe postępowanie w chemioterapii okołoperacyjnej w gruczolakoraku przełyku. W wytycznych ASCO 2023 autorzy zalecają stosowanie niwolumabu lub pembrolizumabu w skojarzeniu z fluoropirymidyną i platyną w grupie pacjentów z rakiem płaskonabłonkowym HER2-ujemnym przełyku lub połączenia przełykowo-żołądkowe.

Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy NFZ wskazują na spadek wydatków płatnika publicznego w przypadku refundacji we wskazaniu nowotwór złośliwy przełyku karboplatyny i paklitakselu.

Główne argumenty decyzji

1. *Dostępne wytyczne kliniczne uznają karboplatynę w skojarzeniu z paklitakselem za efektywną i bezpieczną terapię w nowotworach przełyku.*
2. *Oszczędności dla budżetu płatnika.*

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 na potrzeby oceny zasadności objęcia refundacją leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr: OT.422.1.26.2023 „Karboplatyna we wskazaniu: nowotwór złośliwy przełyku (ICD-10: C15, C15.0, C15.1, C15.2, C15.3, C15.4 C15.5, C15.8, C15.9)”; data ukończenia 12 maja 2023 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 98/2023 z dnia 15 maja 2023 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną
paclitaxelum w wybranych wskazaniach pozarejestacyjnych

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną paclitaxelum we wskazaniach innych niż ujęte w Charakterystyce Produktu Leczniczego tj. wskazaniach dla kodów ICD-10:

- C15 – nowotwór złośliwy przełyku;
- C15.0 – szyjna część przełyku;
- C15.1 – piersiowa część przełyku;
- C15.2 – brzuszna część przełyku;
- C15.3 – górna trzecia część przełyku;
- C15.4 – środkowa trzecia część przełyku;
- C15.5 – dolna trzecia część przełyku;
- C15.8 – zmiana przekraczająca granice jednego umiejscowienia w obrębie przełyku;
- C15.9 – przełyk, umiejscowienie nieokreślone;
- C21 – nowotwór złośliwy odbytu i kanału odbytu;
- C21.0 – odbyt, umiejscowienie nieokreślone;
- C21.1 – kanał odbytu;
- C21.8 – zmiana przekraczająca granice jednego umiejscowienia w obrębie odbytnicy, odbytu i kanału odbytu.

Uzasadnienie

Rak przełyku stanowi ok. 2% wszystkich nowotworów złośliwych, a najczęstszą jego postacią jest rak płaskonabłonkowy występujący w ok. 90% przypadków. Około 50% przypadków raka płaskonabłonkowego występuje w części środkowej przełyku.

Substancje czynne karboplatyna i paklitaxel były wcześniej przedmiotem oceny Agencji w 2014 roku w części ocenianych wskazań, tj.: C15.1 Piersiowa część przełyku, C15.2 Brzuszna część przełyku, C15.4 Środkowa część przełyku, C15.5 Dolna część przełyku paklitaxel w leczeniu chorych z rozpoznaniem

płaskonabłonkowego raka przełyku jedynie w przypadku skojarzenia chemioterapii (paklitaksel i karboplatyna) z napromieniowaniem podczas wstępnego leczenia przed postępowaniem radykalnym z udziałem chirurgicznego leczenia. Rada Przejrzystości wówczas- pozytywnie zaopiniowała wprowadzenie do refundacji zarówno karboplatyny, jak i paklitakselu, jako leków stosowanych w chemioterapii w powyższych wskazaniach.

Eksperti wskazują, że rocznie w Polsce rozpoznaje się około 300 przypadków raka odbytu.

Rekomendacje kliniczne

Wskazano pięć rekomendacji klinicznych: amerykańskie NCCN 2023, ASCO 2023 i ASCO 2020, oraz europejskie ESMO 2022 i brytyjskie NICE 2023. Wytyczne te odnoszą się do leczenia raka przełyku, bez wyszczególnienia odcinków anatomicznych i lokalizacji wyróżnionych w ramach zlecenia.

Wszystkie spośród odnalezionych wytycznych, wskazują na zasadność stosowania chemioterapii lub chemioradioterapii w określonych przypadkach leczenia raka przełyku. W wytycznych NCCN schemat oparty na paklitakselu w skojarzeniu z karboplatyną jest preferowany w leczeniu przedoperacyjnym oraz chemioradioterapii (CRT) ostatecznej (ang. definitive). W tym wskazaniu, autorzy podają również inne rekomendowane schematy, łączące paklitaksel z fluoropirymidyną i cisplatyną. Paklitaksel w skojarzeniu z karboplatyną wskazano również jako opcję spośród innych preferowanych schematów w leczeniu pierwszej linii gruczolakoraków (AC) oraz raków płaskonabłonkowych (SCC) przełyku. Według wytycznych NCCN, paklitaksel może być także stosowany samodzielnie lub z ramucyrumabem w ramach leczenia drugiej linii AC i SCC.

Ekspert wyraził swoje poparcie dla objęcia finansowaniem substancji czynnych karboplatyna i paklitaksel w zaproponowanych wskazaniach. W opinii swojej wskazał iż, rocznie w Polsce rozpoznaje się około 1300 przypadków wszystkich odcinków raka przełyku. W Jego opinii - zaproponowane zmiany są uzasadnione klinicznie „zgodnie ze standardami NCCN, dwulekowy schemat chemioterapii (paklitaksel + karboplatyna) u chorych na raka płaskonabłonkowego przełyku oraz połączenia żołądkowo-przełykowego jest standardem postępowania dla przedoperacyjnej i definitywnej chemioradioterapii, ponadto karboplatyna w porównaniu do cisplatyny nie jest nefrotoksyczna ani ototoksyczna, co pozwala na stosowanie tego leku w niewydolności nerek czy zaburzeniach słuchu”.

Ekspert podkreśla, że wprowadzenie chemioterapii jest zgodne z aktualnymi standardami i wytycznymi światowych towarzystw naukowych, tym bardziej, że w wielu ośrodkach w Kraju pomimo braku finansowania ze środków publicznych karboplatyna i paklitaksel są stosowane w tych wskazaniach. Wytyczne towarzystw naukowych: polskie PTOK 2020, europejskie ESMO 2021 i amerykańskie NCCN 2023; zalecają stosowanie karboplatyny w skojarzeniu

z paklitakselem w leczeniu zaawansowanego raka odbytu (bez wyszczególniania lokalizacji guza). Jak podali autorzy wytycznych PTOK, paklitaksel w skojarzeniu z karboplatyną jest jednym z zazwyczaj stosowanych schematów w leczeniu paliatywnym, obok fluorouracylu skojarzonego z cisplatyną. Natomiast autorzy wytycznych ESMO 2021 wskazali, że karboplatynę w skojarzeniu z paklitakselem należy uznać za nowy standard postępowania u chorych na zaawansowanego raka odbytu nie leczonych wcześniej przy użyciu chemioterapii. Również wytyczne NCCN zalecają stosowanie karboplatyny z paklitakselem jako preferowany schemat w leczeniu pierwszej linii terapii systemowej, w przypadku raka kanału odbytu lub okołodbytniczego z przerzutami. Zalecenie to jest istotną aktualizacją w stosunku do wcześniejszych rekomendacji NCCN 2022 v.2, które zalecały karboplatynę z paklitakselem równorzędnie dla innych schematów leczenia.

Analiza wpływu na wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorców

Zgodnie z opinią ekspertów klinicznych, refundacja karboplatyny i paklitakselu nie wpłynie na liczbę pacjentów otrzymujących chemioterapię. Uwzględniono maksymalną liczebność populacji docelowej wyznaczoną w oparciu o dane NFZ oraz zmianę udziałów wskazaną przez eksperta tj. 372 osób we wskazaniu nowotwór złośliwy przełyku. Podanie leków będzie rozliczane w ramach świadczenia hospitalizacja onkologiczna u dorosłych zakwaterowanie (5.08.05.0000171) dla każdego ze schematów. Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy NFZ wskazują na spadek wydatków płatnika publicznego w przypadku refundacji karboplatyny i paklitakselu we wskazaniu nowotwór złośliwy przełyku oraz nowotwór złośliwy odbytu i kanału odbytu. Prognozowany w I roku refundacji spadek wydatków inkrementalnych wyniósł:

- 6,26 mln zł we wskazaniu nowotwór złośliwy raka przełyku;
- 1,28 mln zł (cykl 21-dniowy) we wskazaniu nowotwór złośliwy odbytu u kanału odbytu.

Głównym ograniczeniem analizy jest niepewność związana z liczbą cykli, czasem leczenia i dawkowaniem uwzględnionych schematów po wprowadzeniu do refundacji w ramach wskazań off-label karboplatyny i paklitakselu.

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 na potrzeby oceny zasadności objęcia refundacją leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce

Produktu Leczniczego nr: OT.422.1.27.2023 „Paklitaxel we wskazaniach: nowotwór złośliwy przełyku (ICD-10: C15, C15.0, C15.1, C15.2, C15.3, C15.4 C15.5, C15.8, C15.9) nowotwór złośliwy odbytu i kanału odbytu (ICD-10: C21, C21.0, C21.1, C21.8)”; data ukończenia 12 maja 2023 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 99/2023 z dnia 15 maja 2023 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną
fentanyl w wybranych wskazaniach pozarejestacyjnych

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną fentanyl w postaci do stosowania donosowego we wskazaniu: ból przebijający u dzieci z chorobą nowotworową, które w ramach leczenia przewlekłego bólu nowotworowego poddawane są opioidowej terapii podtrzymującej, a u których istnieją udokumentowane przeciwwskazania do stosowania innych krótkotrwale działających opioidów lub stwierdzono nieskuteczność tych leków.

Uzasadnienie

W dniu 21 września 2020 roku Rada Przejrzystości wydała pozytywną opinię (nr 239/2020) w przedmiocie refundacji leków zawierających substancję czynną fentanylum w ocenianym wskazaniu. Wyniki badań przedstawione w sporządzonym wówczas opracowaniu Agencji nie pozwoliły wyciągnąć silnych wniosków dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa fentanylu w postaci donosowej we wnioskowej populacji. Odnaleziono natomiast rekomendacje praktyki klinicznej. Wytyczne APPM 2020 oraz NICE 2016 zalecają opioidy przezśluzówkowe w przypadku bólu w opiece paliatywnej u dzieci. Polskie wytyczne PTBB 2017 nie odnosiły się do populacji pediatrycznej, jednak wskazywały na zastosowanie fentanylu w preparatach przezśluzówkowych w leczeniu bólów przebijających. Polskie wytyczne PTOK 2018 również zalecają fentanyl podawany przezśluzówkowo w leczeniu bólu przebijającego u chorych na nowotwory z bólem. W zaleceniach MZ 2019 wskazano na możliwość zastosowania fentanylu dożylnie lub doustnie w leczeniu bólu u dzieci o etiologii zarówno urazowej jak i nieurazowej. Z kolei w wytycznych HAS 2000 w leczeniu silnego bólu u dzieci zalecono podanie fentanylu dożylnie.

Niniejsza opinia stanowi aktualizację poprzednich opracowań pod kątem nowych dowodów naukowych oraz wytycznych klinicznych na potrzeby oceny skuteczności i bezpieczeństwa wskazanej technologii medycznej.

W ramach analizy nie odnaleziono badań spełniających kryteria włączenia. Odnaleziono natomiast międzynarodowe wytyczne WHO z 2018 r. odnoszące się

do farmakologicznego i radioterapeutycznego postępowania w bólu nowotworowym u dorosłych i młodzieży, które nie zostały przedstawione w poprzednim raporcie. W ich świetle ból przebijający należy leczyć lekiem ratunkowym, którym powinien być opioid, taki jak morfina, w postaci o natychmiastowym uwalnianiu. Zgodnie z drabiną analgetyczną WHO morfina jest analgetykiem opioidowym III stopnia (opiod „silny”). Fentanyl należy do opioidów silnych, który podawany przezśluzówkowo (donosowo, podpoliczkowo, podjęzykowo) stanowi produkt o szybkim początku działania przeciwbólowego.

Uwzględniając przedstawione okoliczności Rada uznaje, że refundacja leków zawierających substancję czynną fentanylum powinna być kontynuowana w ocenianym wskazaniu.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2023 r., poz. 826), 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 na potrzeby oceny zasadności dalszego finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr: OT.422.1.17.2023 „Fentanyl w postaci do stosowania donosowego we wskazaniu: ból przebijający u dzieci z chorobą nowotworową, które w ramach leczenia przewlekłego bólu nowotworowego poddawane są opioidowej terapii podtrzymującej, a u których istnieją udokumentowane przeciwwskazania do stosowania innych krótkotrwanie działających opioidów lub stwierdzono nieskuteczność tych leków”; data ukończenia 9 maj 2023 r. oraz aneksu nr: OT.4320.26.2020.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 100/2023 z dnia 15 maja 2023 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną
desmopressinum w wybranych wskazaniach pozarejestacyjnych

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną desmopressinum we wskazaniu: pierwotne izolowane moczenie nocne u pacjentów pomiędzy 5-6 rokiem życia z prawidłową zdolnością zagęszczania moczu po udokumentowaniu nieskuteczności 1-miesięcznego postępowania wspomagającego i motywującego.

Uzasadnienie

Przedmiotem opinii jest ocena zasadności kontynuacji finansowania ze środków publicznych leków zawierających desmopresynę w ww. wskazaniu pozarejestacyjnym. W odniesieniu do powyższego wskazania Rada Przejrzystości dwukrotnie pozytywnie opiniowała wymienioną substancję czynną (ORP nr 200/2017 z dn. 17 lipca 2017 r. oraz ORP nr 146/2020 z dn. 15 czerwca 2020 r.). Niniejsza opinia aktualizuje dane zawarte w poprzednim stanowisku Rady.

Moczenie nocne definiowane jest jako stałe (co najmniej 3 razy w tygodniu) lub okresowe, mimowolne i bezwiedne oddawanie moczu w czasie snu przez dziecko będące w wieku, w którym samodzielna kontrola nad tym procesem powinna już być wykształcona (ok. 5 r.ż.). W przypadku niepowodzenia terapii behawioralnej zaleca się rozpoczęcie farmakoterapii (desmopresyną) lub zastosowanie alarmu wybudzeniowego (technologia nie jest refundowana w Polsce).

W wyniku przeprowadzonego przeglądu systematycznego nie odnaleziono nowych, opublikowanych po 28. maja 2020 roku, badań spełniających kryteria włączenia do analizy. Do opracowania włączono jednak jedno prospektywne kohortowe badanie Radojicic 2020, odnoszące się do skuteczności desmopresyny u dzieci w wieku 5-6 lat. Badanie to dotyczyło populacji, która nie odpowiadała na leczenie zachowawcze przez co najmniej 3 miesiące, zaś obecnie oceniane wskazanie dotyczy dzieci z udokumentowanym 1-miesięcznym nieskutecznym postępowaniem wspomagającym i motywującym, zatem nie odpowiada w pełni populacji ocenianej. Wyniki badania wskazują na istotny efekt terapeutyczny

desmopresyny w zakresie zmniejszenia częstości moczenia nocnego zarówno w populacji dzieci w wieku przedszkolnym tj. 5-6 lat (N=43) jak i w wieku szkolnym 7-12 lat (N=46). Wykazano istotnie wyższą redukcję enurezy w grupie dzieci starszych względem młodszych.

Odnalezione najnowsze rekomendacje kliniczne, europejskie (EAU 2023) oraz światowe (ICCS 2020), wskazują na zasadność stosowania desmopresyny u dzieci powyżej piątego roku życia z potwierdzonym monosymptomatycznym moczeniem nocnym.

Podsumowując, od wydania poprzedniej opinii nie pojawiły się nowe dowody naukowe wskazujące na konieczność zmiany dotychczasowego wnioskowania.

Uwzględniając powyższe dane Rada uznaje za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną desmopressinum we wnioskowanym wskazaniu pozarejestacyjnym.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2023 r., poz. 826), 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 opracowanie na potrzeby oceny zasadności dalszego finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr: OT.422.1.15.2023 „Desmopresyna we wskazaniu: pierwotne izolowane moczenie nocne u pacjentów pomiędzy 5-6 rokiem życia z prawidłową zdolnością zagęszczania moczu po udokumentowaniu nieskuteczności 1-miesięcznego postępowania wspomagającego i motywującego”; data ukończenia 28 kwietnia 2023 r. oraz aneksu nr: OT.4321.70.2019.