



BP.401.22.2023.AG

**Protokół nr 22/2023  
z posiedzenia Rady Przejrzystości  
w dniu 5 czerwca 2023 roku**

Tomasz Pasierski otworzył posiedzenie o godzinie 10:02

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

1. Damian Czyżewski
2. Anna Gręziak
3. Maciej Karaszewski
4. Dorota Kilańska
5. Marcin Kołakowski
6. Bogusław Machaliński
7. Tomasz Pasierski
8. Jakub Pawlikowski
9. Tomasz Romańczyk
10. Monika Urbaniak

Proponowany porządek obrad:

1. Ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Lonsurf (trifluridinum; tipiracilum) w ramach programu lekowego „Leczenie chorych na zaawansowanego raka przełyku i żołądka (ICD-10: C15 - C16)”.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Opdivo (nivolumabum) w ramach programu lekowego B.141 „Leczenie pacjentów z rakiem urotelialnym (ICD-10 C61, C65, C66, C67, C68)”.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego Lipistart we wskazaniach:
  - deficyt LCHAD;
  - deficyt VLCAD;
  - deficyt CPT I;
  - deficyt CPT II;
  - chłonnobrzusze;
  - wada serca – stan po leczeniu kardiochirurgicznym.
5. Przygotowanie opinii o projektach programów polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego:
  - 1) „Dofinansowanie do leczenia niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego dla mieszkańców Powiatu Zduńskowolskiego na lata 2024-2026”,
  - 2) „Wsparcie leczenia niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego – in vitro dla mieszkańców województwa śląskiego na lata 2023-2026”,
  - 3) „Program polityki zdrowotnej w zakresie wczesnego wykrywania wad wzroku u dzieci, zwłaszcza krótkowzroczności, w tym w związku z realizacją nauki zdalnej podczas epidemii COVID-19”.

6. Zakończenie posiedzenia.

**Ad 1.** Tomasz Romańczyk zgłosił konflikt interesów w zakresie pkt. 2 porządku obrad, w związku z powyższym podczas głosowania jego głos liczony będzie jako wstrzymujący.

Żaden z pozostałych członków Rady nie zadeklarował konfliktu interesów.

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

**Ad 2.** Analityk Agencji przedstawił najważniejsze informacje z raportu dot. leku Lonsurf (wniosek refundacyjny) w ramach programu lekowego „Leczenie chorych na zaawansowanego raka przełyku i żołądka (ICD-10: C15 - C16)”.

Projekt stanowiska Rady przedstawił Tomasz Romańczyk.

W dyskusji i formułowaniu końcowej wersji stanowiska udział wzięli Tomasz Pasierski i Tomasz Romańczyk.

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

**Ad 3.** Analityk Agencji podsumował raport w sprawie leku Opdivo (wniosek refundacyjny) w ramach programu lekowego B.141 „Leczenie pacjentów z rakiem urotelialnym (ICD-10 C61, C65, C66, C67, C68)”.

We wstępnej dyskusji udział wzięli: Tomasz Romańczyk, Tomasz Pasierski i Bogusław Machaliński.

Rada wysłuchiwała stanowisk eksperta i przedstawiciela pacjentów.

Projekt stanowiska Rady przedstawił Bogusław Machaliński.

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

W związku z brakiem innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 6 głosami „za”, przy 3 głosach „przeciw” oraz 1 głosie „wstrzymującym” z uwagi na zgłoszony konflikt interesów (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 2 do protokołu).

**Ad 4.** Analityk Agencji podsumował opracowanie analityczne dot. Lipistart we wskazaniach:

- deficyt LCHAD;
- deficyt VLCAD;
- deficyt CPT I;
- deficyt CPT II;
- chłonnobrzusze;
- wada serca – stan po leczeniu kardiochirurgicznym.

Projekt stanowiska Rady przedstawił Marcin Kołakowski.

W dyskusji udział wzięli Tomasz Pasierski.

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

**Ad 5.** 1) Analityk Agencji omówił projekt programu polityki zdrowotnej dot. dofinansowania do leczenia niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego dla mieszkańców Powiatu Zduńskowolskiego na lata 2024-2026.

Projekt opinii Rady przedstawił Jakub Pawlikowski.

W dyskusji głos zabrali: Tomasz Pasierski i Jakub Pawlikowski.

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

2) Analityk Agencji omówił projekt programu polityki zdrowotnej dot. wsparcia leczenia niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego – in vitro dla mieszkańców Województwa Śląskiego na lata 2023-2026.

Projekt opinii Rady przedstawiła Monika Urbaniak.

W dyskusji udział wzięli: Tomasz Pasierski, Jakub Pawlikowski i Monika Urbaniak.

W związku z brakiem innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 7 głosami „za”, przy 3 głosach „przeciw” (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 5 do protokołu).

3) Analityk Agencji omówił projekt programu polityki zdrowotnej z zakresu wczesnego wykrywania wad wzroku u dzieci, zwłaszcza krótkowzroczności, w tym w związku z realizacją nauki zdalnej podczas epidemii COVID-19.

Projekt opinii Rady przedstawiła Anna Gręziak.

W dyskusji i formułowaniu końcowej wersji opinii udział wzięli: Dorota Kilańska, Jakub Pawlikowski, Tomasz Pasierski i Anna Gręziak.

W związku z brakiem innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 9 głosami „za”, przy 1 głosie „przeciw” uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 6 do protokołu).

**Ad 6.** Zakończenie posiedzenia 11:52.



Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 59/2023 z dnia 5 czerwca 2023 roku  
w sprawie oceny leku Lonsurf (triflurydyna + typiracyl) w ramach  
programu lekowego „Leczenie chorych na zaawansowanego raka  
przełyku i żołądka (ICD-10: C15-C16)”

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktów leczniczych:*

- *Lonsurf (trifluridinum + tipiracilum), tabletki powlekane, 20 mg + 8,19 mg, 60 tabl., GTIN: 05901571320649;*
- *Lonsurf (trifluridinum + tipiracilum), tabletki powlekane, 15 mg + 6,14 mg, 20 tabl., GTIN: 05901571320618;*
- *Lonsurf, (trifluridinum + tipiracilum), tabletki powlekane, 15 mg + 6,14 mg, 60 tabl., GTIN: 05901571320625;*
- *Lonsurf, (trifluridinum + tipiracilum), tabletki powlekane, 20 mg + 8,19 mg, 20 tabl., GTIN: 05901571320632;*

*w ramach programu lekowego „Leczenie chorych na zaawansowanego raka przełyku i żołądka (ICD-10: C15-C16)”, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie ich bezpłatnie, jedynie w sytuacji wcześniejszego leczenia schematami zawierającymi taksany.*

*Rada Przejrzystości uważa za zasadne zastosowanie instrumentu dzielenia ryzyka zapewniającego koszty stosowania wnioskowanego leku na poziomie nie wyższym niż dotychczasowe koszty stosowania tego leku we wszystkich refundowanych wskazaniach, a także wprowadzenia mechanizmu polegającego na ograniczeniu maksymalnych wydatków płatnika publicznego.*

#### **Uzasadnienie**

##### Problem decyzyjny

*Zgodnie z danymi Krajowego Rejestru Nowotworów (KRN), w 2020 r. liczba zachorowań na raka gruczołowego żołądka wyniosła ogółem ok. 4,5 tys. osób, co stanowi 5 najczęstszą przyczynę zgonu u mężczyzn i 7 u kobiet. Wniosek dotyczy produktu Lonsurf w leczeniu pacjentów z gruczolakiem żołądka lub połączenia przełykowo-żołądkowego, u których udokumentowano nieskuteczność dwóch wcześniejszych standardowych schematów leczenia*

choroby zaawansowanej, w tym obejmujących fluoropirymidynę, platynę i taksany lub irynotekan lub brak możliwości zastosowania wymienionych powyżej metod (III linia leczenia). Wskazane to jest jednym ze wskazań rejestracyjnych leku. Lonsurf u dorosłych podawany jest w dawce 35 mg/m<sup>2</sup> pc./dawkę doustnie dwa razy na dobę od 1. do 5. dnia oraz od 8. do 12. dnia każdego 28-dniowego cyklu tak długo, jak długo obserwuje się korzyści z leczenia lub do momentu wystąpienia niemożliwych do zaakceptowania objawów toksyczności.

#### Dowody naukowe

Lonsurf jest złożony z przeciwnowotworowego analogu nukleozydowego tymidyny, triflurydyny oraz z inhibitora fosforylasy tymidynowej (TPazy), typiracylu chlorowodorku. Skojarzenie triflurydyny i typiracylu chlorowodorku wykazywało przeciwnowotworową aktywność przeciw liniom komórek raka jelita grubego zarówno wrażliwych jak i opornych na 5-fluorouracyl (5-FU).

Wytyczne NCCN, ESMO, DGHO i SEOM wskazują terapię z wykorzystaniem triflurydyny i typiracylu jako preferowaną opcję terapeutyczną w leczeniu trzeciej linii raka żołądka/połączenia przełykowo-żołądkowego. Jako alternatywne opcje terapeutyczne wskazywane są taksany oraz irynotekan (ESMO, DGHO, SEOM, NCCN).

W badaniu TAGS (randomizowane, podwójnie zaślepione badanie kontrolowane placebo, Shitara 2018) grupie pacjentów leczonych wcześniej dwoma liniami leczenia stwierdzono istotną statystycznie przewagę na korzyść leczenia ww. lekiem. Mediana przeżycia całkowitego w subpopulacji 3 linii była o 3,6 miesiąca dłuższa (HR=0,68; 95%CI: 0,47; 0,97) w grupie T/T niż w grupie placebo (odpowiednio 6,8 i 3,2 miesiąca). Stwierdzono również istotną statystycznie przewagę na korzyść triflurydyny/typiracylu w zakresie przeżycia wolnego od progresji oraz czasu do pogorszenia sprawności według ECOG niezależnie od linii leczenia.

#### Problem ekonomiczny

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy stosowanie ocenianej interwencji, tj. triflurydyny/typiracylu w III linii leczenia przerzutowego raka żołądka w miejsce komparatora, stanowiącego BSC (najlepszej terapii podtrzymującej), jest droższe i skuteczniejsze

Ograniczeniem analizy może być ocena kosztów związanych z leczeniem w ramach BSC. Nie odnaleziono bezpośrednich źródeł danych pozwalających oszacować jednoznacznie koszt leczenia w ramach BSC. Nie jest znana wycena diagnostyki i monitorowania w zaproponowanym PL, koszt ten wnioskodawca szacował w oparciu o wycenę diagnostyki innego PL, w którym Lonsurf jest refundowany, a który zawiera zbliżoną charakterystykę monitorowania choroby.

. Szacunkowa liczba chorych objętych leczeniem w ramach proponowanego programu lekowego może wynosić 511 (320 – 542) osób rocznie, choć nie odnaleziono danych epidemiologicznych wskazujących na odsetki pacjentów w poszczególnych liniach leczenia choroby uogólnionej, co stanowi istotne ograniczenie ww. założenia.

#### Główne argumenty decyzji

1. Zastosowanie ocenianej interwencji, tj. triflurydyny/typiracylu w III linii leczenia przerzutowego raka żołądka w miejsce BSC, jest droższe i skuteczniejsze.
2. Wytyczne NCCN, ESMO, DGHO i SEOM wskazują terapię z wykorzystaniem triflurydyny i typiracyli jako preferowaną opcję terapeutyczną w leczeniu trzeciej linii raka żołądka/połączenia przełykowo-żołądkowego.

#### **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. 2555 z 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.423.1.4.2023 „Wniosek o objęcie refundacją leku Lonsuf (triflurydyna + typiracyl) w ramach programu lekowego: »Leczenie chorych na zaawansowanego raka przełyku i żołądka (ICD-10: C15-C16)«”; data ukończenia 24 maja 2023 r.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

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

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem Servier 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:** Servier Polska Sp. z o.o.



Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 60/2023 z dnia 5 czerwca 2023 roku  
w sprawie oceny leku Opdivo (nivolumabum)  
w ramach programu lekowego B.141 „Leczenie pacjentów  
z rakiem urotelialnym (ICD-10 C61, C65, C66, C67, C68)”

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktów leczniczych:*

- *Opdivo (niwolumab), konc. do sporządzania r-ru do inf., 10 mg/ml, 1 fiol. 10 ml, GTIN: 05909991220518;*
- *Opdivo (niwolumab), konc. do sporządzania r-ru do inf., 10 mg/ml, 1 fiol. 4 ml, GTIN: 05909991220501,*

*w ramach programu lekowego B.141 „Leczenie pacjentów z rakiem urotelialnym (ICD-10 C61, C65, C66, C67, C68)”, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie ich bezpłatnie.*

*Rada Przejrzystości nie zgłasza uwag do propozycji instrumentu dzielenia ryzyka.*

*Rada zgłasza następujące uwagi do projektu programu lekowego:*

- *rozważenie ujednoczenia kryterium czasu do rozpoczęcia terapii adjuwantowej (120 vs 90 dni od zabiegu operacyjnego) zapisanego w programie, w stosunku do rekomendacji PTOK;*
- *zawężenie populacji rekrutowanej do pacjentów u których wcześniej stosowano neoadjuwantową chemioterapię opartą na związkach platyny.*

#### **Uzasadnienie**

##### Problem decyzyjny

*Rak urotelialny (prześciowokomórkowy) stanowi >90% przypadków raka pęcherza moczowego i należy do najczęstszych nowotworów złośliwych. Częściej występuje u mężczyzn. Zapadalność wzrasta z wiekiem, zazwyczaj rozpoznawany jest po 60. r.ż. Etiologia nie jest w pełni poznana, jako czynniki ryzyka wskazuje się m.in. palenie papierosów, narażenie na aminy i wielopierścieniowe węglowodory aromatyczne, zakażenia układu moczowego. Inwazyjny rak urotelialny definiowany jest jako przekraczający błonę podstawną, a głębokość nacieku jest kluczowym czynnikiem wpływającym na rokowanie. Odsetek 5-letnich przeżyć nie przekracza 50%.*



Oceniany lek miałby znaleźć się w istniejącej grupie limitowej (1144.0, Niwolumab), zaproponowano dla niego RSS.

Produkt leczniczy Opdivo (nivolumab) w odniesieniu do raka urotelialnego był przedmiotem oceny w AOTMiT:

- w ramach programu lekowego: „leczenie raka urotelialnego z zastosowaniem niwolumabu (ICD-10: C65, C66, C67, C68)”, doprecyzowane wskazanie obejmowało leczenie dorosłych pacjentów z nieoperacyjnym rakiem urotelialnym miejscowo zaawansowanym lub z przerzutami po niepowodzeniu wcześniejszej terapii zawierającej związek platyny;
- we wskazaniu: leczenie raka urotelialnego miedniczki nerkowej w stadium uogólnienia u pacjentów w II linii leczenia (ICD-10: C65) w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych (RDTL) (zlecenie 292/20192);
- we wskazaniu: rak urotelialny pęcherza moczowego (ICD-10: C67), w ramach RDTL (zlecenie 168/20203).

Niwolumab w leczeniu uzupełniającym raka urotelialnego naciekającego błonę mięśniową u dorosłych z ekspresją PD-L1 na komórkach guza  $\geq 1\%$ , z wysokim ryzykiem nawrotu po radykalnej resekcji MIUC nie był dotychczas przedmiotem prac w Agencji.

#### Dowody naukowe

W ramach analizy włączono 1 badanie RCT CheckMate 274, porównujące skuteczność i bezpieczeństwo niwolumabu (NIVO) z placebo (PLC), obejmujące pacjentów z inwazyjnym rakiem urotelialnym po radykalnej resekcji (niezakończone) (Bajorin DF et al. NEJM 2021;384:2102-14.). Nie przedstawiono wyników dwóch drugorzędowych punktów końcowych, dotyczących przeżycia całkowitego (OS) dla populacji z PD-L1  $\geq 1\%$ , a także dla przeżycia specyficznego dla choroby (ang. disease specific survival, DSS), które zostaną ocenione w dłuższej perspektywie.

Wśród pacjentów z poziomem ekspresji PD-L1  $\geq 1\%$  uzyskana mediana przeżycia wolnego od choroby (DFS) w grupie NIVO nie została osiągnięta, natomiast w grupie PLC wyniosła 8,41 m-cy. Ryzyko nawrotu choroby było istotnie statystycznie niższe (o 45%) w grupie NIVO w porównaniu z PLC. Odsetek osób, które przeżyły i były wolne od choroby po 6 m-ch, wynosił 74,5% w grupie NIVO i 55,7% w grupie PLC, natomiast po 12 m-ch odsetek ten wyniósł odpowiednio: 67% oraz 46%. Różnice były istotne statystycznie.

Wśród pacjentów z poziomem ekspresji PD-L1  $\geq 1\%$  uzyskana mediana przeżycia wolnego od nawrotu poza układem moczowym (NUTRFS) w grupie NIVO nie została osiągnięta, natomiast w grupie PLC wyniosła 10,8 m-cy. Ryzyko nawrotu poza układem moczowym było istotnie niższe (o 46%) w grupie NIVO w porównaniu z PLC. Odsetek osób, które przeżyły i były wolne od nawrotu poza układem moczowym po 6 m-ch, wynosił 75,3% w grupie NIVO i 56,7% w grupie

PLC, po 12 m-ch natomiast odsetek wyniósł odpowiednio: 68,7 % oraz 46,7%. Różnice były istotne statystycznie.

Stosowanie NIVO w porównaniu do PLC związane było z istotnym statystycznie niższym (o 39%) ryzykiem wystąpienia przerzutów odległych. Obserwowano istotnie statystycznie większy odsetek chorych, u których nie wystąpiły przerzuty odległe do 6. m-ca terapii oraz do 12. m-ca terapii.

Jakość życia: ryzyko potwierdzonego pogorszenia się HRQoL u pacjentów z ekspresją PD-L1  $\geq 1\%$  było istotnie statystycznie mniejsze (o 37%) w grupie NIVO w ocenie EQ-5D-3L VAS. W ocenie jakości życia wg EORTC-C30 ryzyko dotyczące pogorszenia się stanu zdrowia wykazywało tendencję niższą w grupie NIVO w porównaniu do PLC, wyniki nie osiągnęły jednak istotności statystycznej.

Zdarzenia niepożądane łącznie występowały istotnie statystycznie częściej w grupie z niwolumabem (NIVO) w porównaniu do placebo (PLC), jednak zdarzenia niepożądane stopnia  $\geq 3$  występowały z porównywalną częstością w obydwóch grupach. Zdarzenia niepożądane związane z leczeniem występowały z istotnie większą częstością w grupie NIVO w porównaniu do PLC. Ciężkie zdarzenia niepożądane oraz ciężkie zdarzenia niepożądane w stopniu  $\geq 3$  występowały ze zbliżoną częstością w obydwóch grupach. Ciężkie zdarzenia niepożądane związane z leczeniem występowały z istotnie statystycznie większą częstością w grupie NIVO w porównaniu do PLC. Istotnie statystycznie częściej w grupie pacjentów z NIVO niż PLC występowały biegunki, świąd, wysypki, wysypki plamisto-grudkowej, zmęczenie, niedoczynność i nadczynność tarczycy. Do ciężkich zdarzeń niepożądanych występujących istotnie statystycznie częściej w grupie PLC należały natomiast infekcja dróg moczowych oraz progresja nowotworu złośliwego.

Odnalezione wytyczne postępowania w leczeniu raka urotelialnego nie prezentują jednolitego standardu postępowania. Wytyczne polskie (PTOK 2022) oraz europejskie (ESMO 2021) nie rekomendują stosowania adjuwantowej immunoterapii z uwagi na brak pełnych wyników badań klinicznych (brak udokumentowanej przewagi w zakresie OS). Wytyczne amerykańskie (NCCN 2023) wskazują niwolumab jako alternatywę dla adjuwantowej chemioterapii opartej na cisplatynie. Wytyczne NCCN 2023 rekomendują niwolumab u pacjentów ze stopniem zaawansowania ypT2-ypT4a lub ypN+, u których wcześniej zastosowano neoadjuwantową chemioterapię opartą na cisplatynie.

W odniesieniu do rekomendacji refundacyjnych, funkcjonują dwie rekomendacje pozytywne (HAS 2022, G-BA 2022/2023), trzy rekomendacje pozytywne warunkowe (NICE 2022, SMC 2023, CADTH 2022) i jedna rekomendacja negatywna (PBAC 2022).

### Problem ekonomiczny

Stosowanie niwolumabu w miejsce placebo jest w wariancie z RSS, jak i bez uwzględniania RSS.

Przedstawiono deterministyczną i probabilistyczną analizę wrażliwości. W analizie deterministycznej przetestowano m.in. zmianę powierzchni ciała pacjentów, kosztów leczenia po nawrocie czy brak utraty użyteczności z powodu działań niepożądanych. W żadnym ze scenariuszy nie doszło do zmiany wniosku. W analizie probabilistycznej prawdopodobieństwo użyteczności kosztowej wynosi z RSS bez RSS.

Objęcie refundacją ocenianej technologii lekowej będzie związane z dodatkowymi kosztami ponoszonymi z perspektywy NFZ. Analizę wykonano w 2-letnim horyzoncie czasowym. Wyniki analizy z uwzględnieniem proponowanego RSS wskazują, że po objęciu refundacją leku Opdivo wydatki płatnika publicznego ponoszone w populacji docelowej wzrosną w stosunku do scenariusza istniejącego,

Wyniki analizy bez uwzględnienia RSS wskazują na odpowiednio większy wzrost kosztów zarówno w pierwszym, jak i drugim roku refundacji:

Główne ograniczenia analizy wynikają z niepewności w sposobie określenia technologii opcjonalnej. Analiza danych NFZ wskazuje bowiem, że wykorzystanie związków platyny (karboplatyny lub cisplatyny) do 120 ew. 90 dni po zabiegu radykalnej cystektomii, rozumiane jako leczenie adjuwantowe raka pęcherza moczowego, dotyczyło łącznie 11,28% pacjentów. Są to zatem pacjenci odpowiadający definicji populacji docelowej, u których związki platyny nie były wykorzystane w leczeniu neoadjuwantowym, a nie wykazywali przeciwwskazań do ich stosowania.

### Główne argumenty decyzji

- Względna skuteczność kliniczna leku Opdivo w leczeniu adjuwantowym raka urotelialnego potwierdzona we wstępnych wynikach badania RCT;
- Umiarkowana efektywność kosztowa proponowanego rozszerzenia programu lekowego.

### **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. 2555 z 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.423.1.5.2023 „Opdivo (niwolumab) w leczeniu uzupełniającym raka urotelialnego u dorosłych z ekspresją

PD-L1 na komórkach guza  $\geq 1\%$  z wysokim ryzykiem nawrotu po radykalnej cystektomii z cechą R0";  
data ukończenia: 24.05.2023 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinie przedstawiciela pacjentów i eksperta przedstawione w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Bristol-Myers Squibb Pharma EEIG).

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem Bristol-Myers Squibb Pharma EEIG 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 2020 r., poz. 2176 z późn. zm.) w zw. z art. 11 ust. 2 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2020 r., poz. 1913 z późn. zm.).

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

**Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności:** Bristol-Myers Squibb Pharma EEIG



Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 61/2023 z dnia 5 czerwca 2023 roku  
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka  
spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Lipistart  
we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt CPT1,  
deficyt CPT2, chłonkobrzusze, wada serca – stan po leczeniu  
kardiochirurgicznym

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Lipistart, proszek, puszka 400 g, we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt CPT1, deficyt CPT2, chłonkobrzusze, wada serca – stan po leczeniu kardiochirurgicznym.*

**Uzasadnienie**

Problem decyzyjny

*Zasadności wydawania zgody na kontynuację refundacji w ramach importu docelowego środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Lipistart we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt CPT1, deficyt CPT2, chłonkobrzusze, wada serca – stan po leczeniu kardiochirurgicznym. Lipistart uprzednio uzyskał już pozytywne Stanowisko Rady Przejrzystości nr 83/2019 oraz pozytywną Rekomendację Prezesa nr 81/2019 w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację w ramach importu docelowego. Jednak przedmiotem oceny nie był deficyt palmitylotransferazy karnityny typu 2 (deficyt CPT2).*

Dowody naukowe

*W pierwotnym raporcie (OT.4311.14.2019) w ramach przeprowadzonego przeglądu odnaleziono badania i opisy przypadków dla deficytu LCHAD i VLCAD, chłonkobrzusza i chłonetoku do jamy opłucnej wskazujące na skuteczność mieszanek wzbogaconych o MCT ww. wskazaniach. W poprzednim raporcie, tak jak w przypadku aktualnego raportu nie odnaleziono w ramach przeprowadzonego przeglądu żadnych dowodów dotyczących stosowania śsspż wzbogaconych o MCT w populacji pacjentów z deficytem CPT1. Ponadto przeanalizowano badanie Alsahlawi 2022 – opis przypadku pacjenta ze zdiagnozowanym deficytem palmitylotransferazy karnityny typu II (CPT2).*

Nie odnaleziono nowych badań dla pozostałych wskazań, tj. deficytu VLCAD, deficytu LCHAD, deficytu CPT1, chłonkobrzusza oraz chłonkotoku do jamy opłucnej, będącego wynikiem leczenia kardiochirurgicznego wad serca.

Rekomendacje kliniczne: BIMDG 2017 (aktualizacja 2020) (Wielka Brytania; van Calcar 2020 (aktualizacja wytycznych SERN/GMDI 2019) (USA); Zalecenia dietetyczne w pediatrii 2019 (Polska). Co prawda nie odnaleziono wytycznych klinicznych dla leczenia chłonkobrzusza, jednak odnaleziono retrospektywne badanie obserwacyjne Miserachs 2019, odnoszące się do postępowania w przypadku wystąpienia chłonkobrzusza po przeszczepie wątroby w populacji pediatrycznej.

### Problem ekonomiczny

Zgodnie z informacją zawartą w zleceniu szacunkowa cena netto sprzedaży analizowanego środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego do apteki, zawierająca marżę hurtową, wynosi 224,97 zł za puszkę 400 g (dane nt. ceny śsspż pochodzą z raportu z ZSMOPL z marca 2023 r.). Zgodnie z danymi przekazanymi przez Ministerstwo Zdrowia w okresie styczeń 2021 – luty 2023 wydano łącznie 52 zgody na refundację produktu Lipistart dla 19 pacjentów, a łączna kwota zgód na refundację wyniosła ok. 414 tys. zł (sprowadzono 1842 opak.). Produkt Lipistart w nowo ocenianym wskazaniu tj. deficyt CPT2 sprowadzono w ramach importu docelowego dla jednego pacjenta – zrefundowano 30 opakowań na kwotę 6 749,10 zł. Ze względu na to, że oceniany śsspż stosowany jest jako uzupełnienie diety u dzieci w różnym wieku, co bezpośrednio przekłada się na jego dawkowanie, ponadto czas stosowania jest indywidualny w zależności od stanu klinicznego pacjenta i zalecanego leczenia dietetycznego, przy czym brak jest ww. danych w polskiej populacji pacjentów, nie jest możliwe wiarygodne oszacowanie kosztu rocznej terapii. Uwzględniając obecnie niewielkie koszty ponoszone na Lipistart w populacji pacjentów z deficytem CPT2 oraz rzadki charakter choroby, przewidywany wpływ na wydatki płatnika publicznego jest niewielki.

### Główne argumenty decyzji

1. Rekomendacje kliniczne i wytyczne towarzystw naukowych najczęściej nie odnoszą się bezpośrednio do ocenianego produktu, jednak wyraźnie wskazują na korzyści wynikające ze stosowania w terapii zaburzeń oksydacji długołańcuchowych kwasów tłuszczowych diety niskotłuszczowej i wysoko węglowodanowej. Dietę można uzupełniać średniołańcuchowymi kwasami tłuszczowymi (MCT). Ważne jest unikanie okresów głodzenia i sytuacji mogących prowadzić do dekompensacji metabolicznej;
2. Wydatki budżetowe nie powinny znacząco wzrosnąć nawet w przypadku poszerzenia grupy pacjentów o tych ze stwierdzonym deficytem CPT2;
3. Wcześniejsze stanowiska Rady i rekomendacje Prezesa AOTMiT.

**Tryb wydania stanowiska**

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust. 2 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2022 r., poz. 2561 z późn. zm.) oraz w zw. z art. 39 ust. 3 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2022 r., poz. 2555 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności dalszego wydawania zgody na refundację nr: OT.4211.5.2023 „Lipistart we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt CPT1, deficyt CPT2, chłonnokbrzusze, wada serca – stan po leczeniu kardiochirurgicznym”; data ukończenia 1 czerwca 2023 r.





Opinia Rady Przejrzystości  
nr 105/2023 z dnia 5 czerwca 2023 roku  
o projekcie programu „Dofinansowanie do leczenia niepłodności  
metodą zapłodnienia pozaustrojowego dla mieszkańców  
Powiatu Zduńskowolskiego na lata 2024-2026”

*Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Dofinansowanie do leczenia niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego dla mieszkańców Powiatu Zduńskowolskiego na lata 2024- 2026”.*

**Uzasadnienie**

*Przedmiotem oceny jest projekt programu polityki zdrowotnej powiatu Zduńska Wola w zakresie leczenia niepłodności, zakładający przeprowadzenie zapłodnienia pozaustrojowego u ok. 10 par w wieku 20-42 lat, u których stwierdzono niepłodność kobiety i/lub mężczyzny i wyczerpały się inne możliwości jej leczenia. Wnioskodawca opisał kryteria kwalifikacji, budżet całkowity i jednostkowy, przewidział poradnictwo psychologiczne, poprawnie sformułował niektóre kryteria monitorowania i ewaluacji oraz przewidział ankietę satysfakcji, jednak program zawiera kilka istotnych wad wymienionych poniżej.*

*Na stronie 12 opisu programu poinformowano, iż wniosek kierujący do programu wystawiony przez realizatora wymaga zatwierdzenia przez Urząd Starostwa Zduńska Wola (w kryteriach ewaluacji przewidziano również analizę liczby „decyzji zatwierdzających dofinansowanie”), co oznacza konieczność ujawnienia władzom powiatu danych wrażliwych dotyczących stanu zdrowia prokreacyjnego uczestników programu oraz wiążące się z tym ryzyko stygmatyzacji i nieuprawnionego przetwarzania danych.*

*Wnioskodawca nie przewidział możliwości kriokonserwacji oocytów zamiast zamrażania zarodków, ani nie odniósł się do kwestii informowania par o takiej możliwości, co jest niezgodne m.in. z wytycznymi ASRM/SART 2021B, w których zaleca się oferowanie kriokonserwacji oocytów w celu ograniczenia liczby zapłodnionych zarodków, a także jeśli występuje nieprzewidziany brak plemników w dniu pobrania.*

*Wnioskodawca powinien uwzględnić w kryteriach monitorowania i ewaluacji programu liczbę kriokonserwowanych zarodków powstałych w trakcie jego realizacji, doprecyzować czy procedura zapłodnienia pozaustrojowego odbędzie się wyłącznie z wykorzystaniem własnych gamet pary czy też także z wykorzystaniem gamet dawców, a także skorygować cele szczegółowe i mierniki efektywności, które sformułowane są nieprawidłowo.*

**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.431.18.2023 „Dofinansowanie do leczenia niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego dla mieszkańców Powiatu Zduńskowolskiego na lata 2024-2026” realizowany przez: Powiat Zduńskowolski; data ukończenia maj 2023 oraz Aneksu „Programy z zakresu diagnostyki i leczenia niepłodności – wspólne podstawy oceny” z czerwca 2022 r.



Opinia Rady Przejrzystości  
nr 106/2023 z dnia 5 czerwca 2023 roku  
o projekcie programu „Wsparcie leczenia niepłodności metodą  
zapłodnienia pozaustrojowego – in vitro dla mieszkańców  
województwa śląskiego na lata 2023-2026”

*Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Wsparcie leczenia niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego – in vitro dla mieszkańców województwa śląskiego na lata 2023-2026”.*

**Uzasadnienie**

*Przedmiotem oceny jest projekt PPZ z zakresu leczenia niepłodności.*

*Celem głównym programu jest „ograniczenie zjawiska niezamierzonej bezdzietności wśród mieszkańców województwa śląskiego poprzez zapewnienie leczenia niepłodności z zastosowaniem procedury medycznie wspomaganej prokreacji (IVF/ICSI), w wyniku której (po wykorzystaniu 3 procedur) prognozuje się narodziny dziecka/dzieci u 20% objętych leczeniem w programie realizowanym w latach 2023-2026”. Konstrukcja celu jest prawidłowa, natomiast nie wskazano uzasadnienia dla przyjętej wartości docelowej. Przy założeniu, że w program obejmie maksymalną zakładaną liczbę par, czyli 615, należy spodziewać się narodzin maksymalnie ok. 120 dzieci.*

*Wnioskodawca zaproponował 2 cele szczegółowe tj. (1) „poprawę dostępu do usług medycznych w obszarze leczenia niepłodności dla mieszkańców województwa śląskiego w trakcie trwania programu poprzez umożliwienie skorzystania z dofinansowania procedury medycznie wspomaganej prokreacji – IVF/ICSI – 615 parom rocznie” oraz (2) „uzyskanie pozytywnego wyniku – ciąży potwierdzonej klinicznie - u co najmniej 25% par zakwalifikowanych do programu zapłodnienia pozaustrojowego w latach 2023-2026 w przeliczeniu na jedną procedurę”.*

*Wnioskodawca zaproponował 3 mierniki efektywności, tj. (1) „odsetek par, którym urodziło się dziecko/dzieci w wyniku zastosowania procedury medycznie wspomaganej prokreacji – IVF/ICSI w ramach programu (wartość docelowa 20% par zakwalifikowanych do programu)”, (2) „odsetek par, które uzyskały dostęp do leczenia niepłodności z zastosowaniem procedury medycznie wspomaganej prokreacji – IVF/ICSI (wartość docelowa 30% par wymagających procedury na*

rok)” oraz (3) „odsetek par, u których uzyskano kliniczną ciążę (potwierdzoną w USG przezbrzuszym lub przezpochwowym) będącą/ce efektem leczenia niepłodności z zastosowaniem procedury medycznie wspomaganej prokreacji – IVF/ICSI w ramach programu (wartość docelowa 25% par poddanych procedurze medycznie wspomaganej prokreacji w ramach programu)”. Mierniki efektywności nr 1 i 3 zostały sformułowane prawidłowo. Wskaźnik nr 2 nie spełnia funkcji miernika efektywności, natomiast może zostać wykorzystany podczas monitorowania. Prawidłowo określono cel główny i jeden z celów szczegółowych oraz mierniki efektywności.

Okres realizacji programu zaplanowany został na lata 2023-2026.

Populację programu stanowią będą pary, w których wiek kobiety wynosi 20-42 lata, których liczebność w woj. śląskim wynosiła w 2022 roku 641 120.

Projekt PPZ zakłada przeprowadzenie jego monitorowania i ewaluacji. Wnioskodawca nie odniósł się osobno do oceny zgłaszalności. W części dotyczącej monitorowania Wnioskodawca wymienił kryteria efektywności programu, obejmujące monitorowanie liczb: „zgłoszonych par podczas realizacji programu”, „par biorących udział w programie z uwzględnieniem wieku”, „par niezakwalifikowanych do programu”, „par, które zrezygnowały z udziału w programie w trakcie jego trwania”, „przeprowadzonych procedur IVF/ICSI”, „pacjentek objętych programem prewencji płodności przed leczeniem gonadotoksycznym”. Kryteria te dotyczą de facto zgłaszalności i zostały zdefiniowane prawidłowo. Wnioskodawca zaplanował też monitorowanie „wskaźnika ciąż wielopłodowych (odsetek ciąż wielopłodowych w stosunku do ciąż klinicznych, odsetka ciąż wielopłodowych w stosunku do ogólnej liczby urodzeń powyżej 24 tygodnia ciąży)”, „wskaźnika urodzeń żywych (odsetek urodzeń w stosunku do ciąż klinicznych i do liczby wykonanych procedur biotechnologicznych)”, „wskaźnika zespołów hiperstymulacyjnych (odsetek zespołów hiperstymulacyjnych w stosunku do liczby wykonanych procedur)”, „liczby powstałych w ramach zarodków, które zostaną poddane kriokonserwacji”. Ocena jakości świadczeń w programie będzie prowadzona na podstawie ankiety satysfakcji.

Wnioskodawca wskazał, że „koszt jednej całej procedury IVF/ICSI wynosi średnio 10 000,00-12 000,00 zł (w zależności od ośrodka). Uczestnikom programu przysługuje możliwość dofinansowania do maksymalnie 3 (trzech) prób zabiegu IVF/ICSI w wysokości do 8 000,00 zł dla par z wykorzystaniem własnych gamet lub gamet dawcy oraz do 4 000,00 zł dla par z wykorzystaniem zarodka dawcy na każdą przeprowadzoną procedurę biotechnologiczną. Jeżeli procedura zapłodnienia pozaustrojowego z powodów medycznych zakończy się na wcześniejszym etapie, to dofinansowanie obejmuje jedynie przeprowadzone do tego etapu elementy. Koszt ewentualnych kolejnych prób (powyżej 3) zapłodnienia pozaustrojowego ponoszony jest w całości przez pacjentów.

*Szczegółowe koszty poszczególnych procedur zostaną określone przez jednostki przystępujące do konkursu”.*

*W PPZ wskazano, że realizator programu wybrany zostanie w drodze konkursu ofert, co jest zgodne z zapisami ustawowymi.*

*Koszty całkowite obejmujące cały okres trwania Programu obejmują łącznie kwotę 20 000 000 zł. Program będzie finansowany ze środków własnych budżetu Województwa Śląskiego.*

*Wnioskodawca powinien uwzględnić opcję kriokonserwacji oocytów zamiast zamrażania zarodków, dla par, które chcą zmniejszyć liczbę zamrażanych zarodków.*

#### **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.431.19.2023 „Wsparcie leczenia niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego – in vitro dla mieszkańców województwa śląskiego na lata 2023-2026” realizowany przez: Województwo Śląskie; data ukończenia maj 2023 oraz Aneksu „Programy z zakresu diagnostyki i leczenia niepłodności – wspólne podstawy oceny” z czerwca 2022 r.



Opinia Rady Przejrzystości  
nr 107/2023 z dnia 5 czerwca 2023 roku  
o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej  
w zakresie wczesnego wykrywania wad wzroku u dzieci,  
zwłaszcza krótkowzroczności, w tym w związku  
z realizacją nauki zdalnej podczas epidemii COVID-19”

*Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej w zakresie wczesnego wykrywania wad wzroku u dzieci, zwłaszcza krótkowzroczności, w tym w związku z realizacją nauki zdalnej podczas epidemii COVID-19”, realizowany przez Miasto Kraków, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.*

**Uzasadnienie**

*Przedmiotem oceny jest projekt programu polityki zdrowotnej zaplanowany do realizacji przez miasto Kraków, zakładający przeprowadzenie badań przesiewowych w kierunku wad wzroku w populacji dzieci oraz działań edukacyjnych. Program zaplanowano na lata 2023-2026. Wnioskodawca oszacował całkowity koszt PPZ na 1 189 755 zł. (rocznie 396 585 zł). Program ma zostać sfinansowany ze środków własnych gminy Kraków.*

*Głównym założeniem projektu programu jest poprawa stanu zdrowia populacji uczniów klas III (dzieci w wieku 9-10 lat) uczęszczających do samorządowych szkół podstawowych, dla których organem prowadzącym jest gmina miejska Kraków, poprzez zwiększenie o co najmniej 8% wczesnego wykrywania i diagnozowania wad wzroku, zwłaszcza krótkowzroczności oraz wdrożenie postępowania leczniczego zapobiegającego powstawaniu i utrwalaniu się wad wzroku. Cel główny programu został sformułowany w sposób zbyt ogólny, co utrudnia prawidłowy dobór mierników efektywności a także nie zawiera uzasadnienia dla podanej wartości docelowej.*

*Populację docelową stanowią dzieci w wieku 9-10 lat, uczęszczające do klas III podstawowych szkół samorządowych. Wskazano, że rocznie liczba uczniów klas III, którzy będą kwalifikować się do programu wyniesie ok. 5 950. W projekcie programu podsumowano, że łączna przewidywana liczba uczestników w latach 2023-2026 wyniesie ok. 14 200 (etap I – ok. 14 200 dzieci, w tym etap II – ok. 2 800 dzieci).*

Program zakłada realizację dwóch etapów. W ramach etapu I (badań przesiewowych w kierunku wad wzroku u dzieci) wskazano na 3 badania: badanie ostrości wzroku przy użyciu przenośnych tablic Snellena do dali i bliży, badanie refrakcji przy użyciu przenośnego autorefraktometru, badanie przedniego docinka oka przy użyciu przenośnej lampy szczelinowej. W projekcie programu podkreślono, że dzieci z nieprawidłowymi parametrami zostaną zakwalifikowane do II etapu interwencji. W ramach etapu II (pogłębionej diagnostyki) zaplanowano 6 badań: badanie ostrości wzroku przy użyciu tablic do badania ostrości wzroku wg skali Snellena, badanie refrakcji przy użyciu autorefraktometru bez i z mydriazą (porażenie akomodacji), badanie ciśnienia wewnątrzgałkowego przy użyciu tonometru aplanacyjnego, badanie przedniego odcinka i dna oka przy użyciu lampy szczelinowej i szkła typu Volk, badanie długości gałki ocznej oraz innych parametrów diagnozujących i monitorujących krótkowzroczność, badanie elektrofizjologiczne pozwalające określić parametry siatkówkowe. W ramach badań przesiewowych w programie uwzględnione będą czynniki ryzyka, które występowały przed pandemią COVID-19, a które okres pandemii dodatkowo nasilił. Jednak nie wskazano jakie konkretnie czynniki ryzyka i w jaki sposób zostaną uwzględnione w ramach planowanych badań.

I etap programu (badań przesiewowych w kierunku wad wzroku), odbywać się będzie w szkołach, w gabinecie pielęgniarki szkolnej lub w pomieszczeniach zapewniających możliwość prawidłowego przeprowadzenia badania. Etap II programu (pogłębionej diagnostyki), odbywać się będzie w poradni okulistycznej mającej doświadczenie w realizacji badań okulistycznych wśród dzieci i znajdującej się na terenie gminy miejskiej Kraków.

Pomimo braku wystarczającej liczby odpowiedniej jakości dowodów, wskazujących na zasadność prowadzenia badań przesiewowych wzroku wśród dzieci, niektóre towarzystwa naukowe (PTO/PTP 2020, CAO/COS/CFPC/CPS 2019, UK NSC 2019), a także eksperci kliniczni zalecają przeprowadzanie programów z zakresu profilaktyki wad wzroku w populacji pediatrycznej. Eksperci są zgodni, że wczesne wykrywanie i odpowiednia korekcja wad wzroku jest kluczowa dla prawidłowego rozwoju dziecka, a ich opóźnione wykrycie może niekiedy powodować nieodwracalne zmiany.

Zaproponowane w Projekcie Programu badania znajdują odzwierciedlenie w rekomendacjach.

W PPZ zaplanowano również działania edukacyjne, skierowane do dzieci z populacji docelowej, a także działania informacyjno-edukacyjne skierowane do ich rodziców/opiekunów prawnych.

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 szkolne.

*Porada okulistyczna dla dzieci, w ramach której mogą być wykonane inne testy przesiewowe znajduje się w wykazie świadczeń gwarantowanych z zakresu AOS. W projekcie programu odniesiono się do sposobu powiązania udzielanych świadczeń z NFZ. Wskazano, że oferowane w programie badania przesiewowe wzroku w dużym stopniu poszerzają możliwości diagnostyczne w stosunku do badań diagnostycznych realizowanych w ramach publicznego systemu opieki zdrowotnej. W ramach świadczeń gwarantowanych nie przewidziano bowiem badania dzieci w wieku, który najbardziej predysponuje do wystąpienia wad wzroku, w tym krótkowzroczności, tj. między 7 a 10 rokiem życia. Dla dzieci w wieku 9-10 lat (III klasa szkoły podstawowej) przewidziane są co prawda badania wzroku w ramach POZ, ale obejmują one jedynie wykrywanie zaburzeń ostrości wzroku i widzenia barw; zatem zakres interwencji zaproponowany w projekcie programu jest szerszy.*

#### **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.431.21.2023 „Program polityki zdrowotnej w zakresie wczesnego wykrywania wad wzroku u dzieci, zwłaszcza krótkowzroczności, w tym w związku z realizacją nauki zdalnej podczas epidemii COVID-19” realizowany przez: Miasto Kraków; data ukończenia maj 2023 oraz Aneksu „Programy z zakresu profilaktyki i korekcji wad wzroku oraz chorób oczu u dzieci – wspólne podstawy oceny” z czerwca 2022 r.