



BP.401.26.2023.AG

**Protokół nr 26/2023
z posiedzenia Rady Przejrzystości
w dniu 3 lipca 2023 roku**

Adam Maciejczyk otworzył posiedzenie o godzinie 10:02

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

1. Damian Czyżewski
2. Anna Gręziak
3. Tomasz Hryniewiecki
4. Maciej Karaszewski
5. Marcin Kołakowski
6. Adam Maciejczyk
7. Tomasz Pasierski
8. Jakub Pawlikowski
9. Tomasz Romańczyk
10. Janusz Szyndler

Proponowany porządek obrad:

1. Ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Vabysmo (farycymabum) w ramach programu lekowego B.70 „Leczenie pacjentów z chorobami siatkówki (ICD-10: H35.3, H36.0)”.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Polivy (polatuzumabum vedotinum) w ramach programu lekowego „Leczenie chorych na chłoniaki B-komórkowe (ICD-10: C82, C83, C85)”.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Nexviadyme (avalglucosidasum alfa) w ramach programu lekowego „Leczenie pacjentów z chorobą Pompego (ICD-10 E 74.0)”.
5. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego Calcort (deflazakort) we wskazaniu: zespół nerczycowy.
6. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego współfinansowanym przez UE w ramach EFS: „Rozszerzenie dostępności robotycznie wspomaganey diagnostyki funkcjonalnej i rehabilitacji dzieci i młodych dorosłych z mózgowym porażeniem dziecięcym i innymi zespołami porażennymi na terenie Województwa Wielkopolskiego”.
7. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program zdrowotny profilaktyki wtórnej raka szyjki macicy w oparciu o edukację i wykrywanie wirusa HPV metodą samopobrania, realizowany w Gminie Kobierzyce na lata 2023 - 2025”.
8. Zakończenie posiedzenia.

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

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

Ad 2. Analityk Agencji omówił najważniejsze informacje z raportu w sprawie leku Vabysmo (wniosek refundacyjny) w ramach programu lekowego B.70 dot. leczenia pacjentów z chorobami siatkówki (ICD-10: H35.3, H36.0).

We wstępnej dyskusji uczestniczyli: Tomasz Romańczyk, Janusz Szyndler i Adam Maciejczyk.

Rada wysłuchała stanowisk przedstawicieli pacjentów oraz eksperta.

Projekt stanowiska Rady przedstawił Tomasz Romańczyk.

W dalszej dyskusji głos zabrali: Adam Maciejczyk, Janusz Szyndler, Tomasz Romańczyk, Maciej Karaszewski i Anna Gręziak.

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 Polivy (wniosek refundacyjny) w ramach programu lekowego dot. leczenia chorych na chłoniaki B-komórkowe (ICD-10: C82, C83, C85).

Rada wysłuchała stanowiska eksperta i przedstawiciela pacjentów.

Projekt stanowiska Rady przedstawił Jakub Pawlikowski.

Rada przeprowadziła dyskusję, w której uczestniczyli: Tomasz Pasierski, Jakub Pawlikowski, Maciej Karaszewski, Janusz Szyndler, Adam Maciejczyk, Tomasz Pasierski, Anna Gręziak, Marcin Kołakowski i Tomasz Hryniewiecki.

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

Ad 4. Analityk Agencji streścił raport w sprawie leku Nexviadyme (wniosek refundacyjny) w ramach programu lekowego dot. leczenia pacjentów z chorobą Pompego (ICD-10 E 74.0).

Rada wysłuchała stanowiska przedstawiciela pacjentów.

We wstępnej dyskusji udział wzięli: Janusz Szyndler, Maciej Karaszewski i Marcin Kołakowski.

Projekt stanowiska Rady przedstawił Marcin Kołakowski.

W dalszej dyskusji uczestniczyli: Adam Maciejczyk, Marcin Kołakowski, Janusz Szyndler, Tomasz Hryniewiecki i Tomasz Romańczyk.

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

Ad 5. Analityk Agencji podsumował raport dot. zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego Calcort (import docelowy) we wskazaniu: zespół nerczycowy.

Projekt stanowiska Rady przedstawił Tomasz Hryniewiecki.

W dyskusji głos zabrali: Tomasz Pasierski i Tomasz Hryniewiecki.

W związku z brakiem innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 9 głosami „za”, przy 1 głosie „przeciw” uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 4 do protokołu).

Ad 6. Analityk Agencji omówił program polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego współfinansowanym przez UE w ramach EFS dot. rozszerzenia dostępności robotycznie wspomaganey diagnostyki funkcjonalnej i rehabilitacji dzieci i młodych dorosłych z mózgowym porażeniem dziecięcym i innymi zespołami porażennymi na terenie Województwa Wielkopolskiego.

Projekt opinii Rady przedstawiła Anna Gręziak.

W dyskusji i formułowaniu końcowej wersji opinii udział wzięli: Adam Maciejczyk, Tomasz Pasierski, Anna Gręziak i Damian Czyżewski.

W związku z brakiem innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 8 głosami „za”, przy 2 głosach „przeciw” uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 5 do protokołu).

Ad 7. Analityk Agencji omówił program polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego dot. profilaktyki wtórnej raka szyjki macicy w oparciu o edukację i wykrywanie wirusa HPV metodą samopobrania, realizowany w Gminie Kobierzyce na lata 2023-2025.

Projekt opinii Rady przedstawił Maciej Karaszewski.

W dyskusji udział wzięli: Adam Maciejczyk, Tomasz Pasierski 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 6 do protokołu).

Ad 8. Zakończenie posiedzenia 13:44.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 71/2023 z dnia 3 lipca 2023 roku
w sprawie oceny leku Vabysmo (farycymab)
w ramach programu lekowego B.70 „Leczenie pacjentów
z chorobami siatkówki (ICD-10:H35.3, H36.0)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Vabysmo (farycymab), roztwór do wstrzykiwań, 120 mg/ml, 1 fiol. 0,24 ml + 1 igła, GTIN:07613326050708, w ramach programu lekowego B.70 „Leczenie pacjentów z chorobami siatkówki (ICD-10: H35.3, H36.0)”, w ramach nowej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie.

Rada Przejrzystości stoi na stanowisku, że roczny koszt wnioskowanej technologii powinien być niższy niż koszt najtańszego obecnie stosowanego w programie komparatora.

Rada zgłasza następujące uwagi do projektu programu lekowego: w leczeniu DME powinien być wprowadzony schemat leczenia i wydłużania okresu między podaniami do 4 miesięcy oraz zgodnie z sugestią Konsultanta Krajowego opracowany i wdrożony system oceny jakości leczenia, by można było kontrolować ośrodki, w których odstęp między dawkami leków stosowanych w programie, wydłużałyby się powyżej 4 miesięcy.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Farycymab (FAR) to humanizowane bispecyficzne przeciwciało z klasy immunoglobulin IgG1. Jego działanie polega na hamowaniu dwóch niezależnych szlaków powodując neutralizację angiopoetyny-2 (Ang-2) i czynnika wzrostu śródbłonna naczyńowego (VEGF-A).

Wniosek dotyczy leczenia neowaskularnej (wysiękowej) postaci zwyrodnienia plamki związanego z wiekiem (AMD) i cukrzycowego obrzęku plamki (DME), w ramach rozszerzonego o nowy lek (farycymab) programu obejmującego obecnie leczenie afliberceptem, bewacyzumabem, deksametazonem w postaci implantu, oraz ranibizumabem. Leczenie farycymabem rozpoczyna się od jednego wstrzyknięcia co 4 tygodnie (co miesiąc) (tj. w odstępach co najmniej 28 dni, ale nie później niż 7 dni po upływie tego terminu) przez 4 kolejne miesiące, a następnie zależnie od wskazania i oceny lekarza u pacjentów bez aktywności

choroby należy podawać farycymab co 16 tygodni (4 miesiące), natomiast u pacjentów z aktywnością choroby ocenianej po serii 4 dawek nasycających należy podawać lek co 8 tygodni lub co 12 tygodni (u chorych z AMD) lub odstęp pomiędzy dawkami można wydłużyć na tyle, aby podtrzymać odpowiedź w zakresie parametrów anatomicznych i funkcjonalnych aktywności choroby maksymalnie do 16 tygodni (4 miesiące) zwiększając go jednorazowo o maksymalnie 4 tygodnie; w przypadku pogorszenia się tych parametrów należy skrócić okres między kolejnymi dawkami leku (u chorych z rozpoznaniem DME). Lek Vabysmo zgodnie z ChPL ma zarejestrowane ww. wnioskowane wskazania do leczenia.

Dowody naukowe

Wg wytycznych terapia inhibitorami VEGF jest zalecana we wnioskowanych wskazaniach jako terapia I linii. Pozostałe możliwości leczenia (rzadziej stosowane) to fotokoagulacja laserowa lub terapia fotodynamiczna z/bez werteporfiny. W odnalezionych rekomendacjach brak jest doniesień na temat stosowania farycymabu w leczeniu nAMD oraz DME.

Analiza obejmowała 7 pierwotnych badań z randomizacją porównujących wnioskowaną technologię z wybranymi komparatorami, w tym 4 badania RCT dla populacji z wysiękową postacią nAMD – czyli wysiękowego zwyrodnienia plamki związane z wiekiem (badanie LUCERNE, porównujące skuteczność i bezpieczeństwo farycymabu z afliberceptem, badanie AVENUE, porównujące skuteczność i bezpieczeństwo farycymabu z ranibizumabem, badanie STAIRWAY, porównujące skuteczność i bezpieczeństwo farycymabu z ranibizumabem, badanie TENAYA, porównujące skuteczność i bezpieczeństwo farycymabu z afliberceptem). W populacji chorych z DME odnaleziono 3 badania RCT: badanie YOSEMITE, porównujące skuteczność i bezpieczeństwo farycymabu z afliberceptem, badanie RHINE, porównujące skuteczność i bezpieczeństwo farycymabu z afliberceptem oraz badanie BOULEVARD, porównujące skuteczność i bezpieczeństwo farycymabu z ranibizumabem. Ponadto oceniono 2 przeglądy systematyczne (Sarohia 2022 – przegląd systematyczny, w którym porównywano skuteczność terapii anty-VEGF stosowanych w różnych schematach dawkowania u chorych z DME obejmującym centrum plamki, Khan 2020 – przegląd systematyczny, w którym podsumowano informacje na temat VEGF, czynników angiopoetyny i angiopoetynopodobnych oraz kompleksu Ang-2-Tie-2 oraz przedstawiono dane dotyczące zastosowania i skuteczności badań klinicznych dla FAR). Przeglądy systematycznie sugerują, że skuteczność i bezpieczeństwo FAR są nie gorsze niż w innych terapiach stosowanych w leczeniu nAMD i DME. Ograniczeniem przeglądu Khan 2020 był brak wyników III fazy badań klinicznych dotyczących FAR u chorych z nAMD i DME.

W populacji chorych z AMD w badaniach TENAYA i LUCERNE bezpośrednio porównujących FAR z AFL nie wykazano istotnych statystycznie różnic w średniej

wartości BCVA (najlepsza korygowalna ostrość wzroku : ang. best corrected visual acuity) w najdłuższym dostępnym dla badań okresie obserwacji (60 tyg.). Porównanie bezpośrednio FAR i RAN (STAIRWAY i AVENUE) również wykazało brak istotnych statystycznie różnic w średniej wartości BCVA w okresie obserwacji wynoszącym 36 tyg. W badaniu STAIRWAY brak istotności różnic dotyczył również dwóch schematów dawkowania: Q12W i Q16W.

Podobnie w badaniu AVENUE różnica w redukcji średniej wartości CST (grubość centralnego podpoła plamki) dla 80% CI pomiędzy interwencjami była istotna. Zarówno w badaniu TENAYA jak i LUCERNE odnotowano redukcję CST względem wartości początkowej. Zmiany te nie były istotne statystycznie. W badaniu STAIRWAY nie wykazano istotnych statystycznie różnic w średniej redukcji CST pomiędzy FAR a RAN.

W populacji chorych z DME wyniki analizy skuteczności w średniej zmianie wartości BCVA względem wartości początkowej nie wykazały istotnej statystycznie przewagi FAR nad AFL w badaniach YOSEMITE I RHINE (okres obserwacji 2 lata). Natomiast w badaniu BOULEVARD zaobserwowano istotną statystycznie różnicę FAR nad RAN w populacji ITT (różnica 2,9 liter ETDRS w 80% CI). W przypadku populacji leczonej wcześniej anty-VEGF nie wykazano istotnej statystycznej różnicy. W badaniu YOSEMITE i RHINE porównując skuteczność FAR z AFL odnotowano redukcję CST u pacjentów w grupie FAR PTI. W badaniu YOSEMITE CST w FAR PTI uległo redukcji względem wartości początkowej o 204,5 μm , natomiast w badaniu RHINE o 197,1 μm . W badaniu BOULEVARD porównując skuteczność FAR i RAN FAR średnia redukcja CST wynosiła 225,8 μm u pacjentów nieleczonych wcześniej anty-VEGF oraz 186,6 μm u pacjentów, którzy byli wcześniej leczeni anty-VEGF.

Problem ekonomiczny

Na podstawie danych z NFZ w 2022 było leczonych w ramach istniejącego programu 29527 chorych z AMD (przede wszystkim stosowano aflibercept, w 2 kolejności ranibizumab) oraz 3209 z DME (przede wszystkim stosowano bewacyzumab).

FAR jest technologią efektywną kosztowo przy uwzględnieniu RSS w odniesieniu do komparatorów.

Objęcie refundacją ocenianej technologii lekowej, w wariantcie bez RSS, będzie związane z dodatkowymi kosztami zarówno w perspektywie NFZ i wspólnej. Natomiast w wariantcie z RSS będzie związane z oszczędnościami zarówno z perspektywy NFZ i wspólnej.

Główne argumenty decyzji

- 1. Udokumentowana porównywalna skuteczność leku w odniesieniu do obecnie stosowanych komparatorów w proponowanych wskazaniach.*
- 2. Wprowadzenie leku farycymab do obecnego programu lekowego z zastosowaniem proponowanego RSS spowoduje wygenerowanie oszczędności zarówno z perspektywy NFZ jak i wspólnej.*

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.423.1.6.2023 „Wniosek o objęcie refundacją leku Vabysmo (farycymab) we wskazaniu: »Leczenie pacjentów z chorobami siatkówki (ICD-10:H35.3, H36.0)«”; data ukończenia: 22 czerwca 2023 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia przedstawicieli pacjentów i eksperta przedstawiona w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Roche 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: Roche Polska Sp. Z o.o.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 72/2023 z dnia 3 lipca 2023 roku
w sprawie oceny leku Polivy (polatuzumabum vedotinum)
w ramach programu lekowego „Leczenie chorych
na chłoniaki B-komórkowe (ICD-10: C82, C83, C85)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktów leczniczych:

- *Polivy (polatuzumabum vedotinum), proszek do sporządzania koncentratu roztworu do infuzji, 30 mg, 1 fiol., kod GTIN: 07613326029353,*
- *Polivy (polatuzumabum vedotinum), proszek do sporządzania koncentratu roztworu do infuzji, 140 mg, 1 fiol., kod GTIN: 07613326024143,*

w ramach programu lekowego „Leczenie chorych na chłoniaki B-komórkowe (ICD-10: C82, C83, C85)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Chłoniaki rozlane z dużych komórek B (DLBCL) należą do grupy chłoniaków wywodzących się z dojrzałych obwodowych limfocytów B. Rokowanie u chorych na DLBCL zależy przede wszystkim od stopnia zaawansowania choroby i czynników rokowniczych.

Przedmiot wniosku obejmuje rozszerzenie refundacji Polivy o 1. linię leczenia w skojarzeniu z rytuksymabem, cyklofosfamidem, doksorubicyną oraz prednizonem. Jako komparator wnioskodawca wskazał najlepszą terapię standardową (R-CHOP), tj. rytuksymab, cyklofosfamid, doksorubicyna, winkrystyna i prednizon. Wybór komparatora dokonany przez wnioskodawcę należy uznać za poprawny. Lek posiada status leku sierocego (EU/3/18/2013), a proponowane wskazanie jest zgodne ze wskazaniami rejestracyjnymi.

Rada Przejrzystości w dniu 22 lutego 2021 r. uznała za zasadne uwzględnienie leku Polivy w wykazie technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności – opinia Rady dotyczyła jednak innego wskazania. W stanowisku z dnia 24 maja 2021 r. Rada oceniła pozytywnie stosowanie Polivy w „Leczeniu opornego/nawrotowego chłoniaka rozlanego z dużych komórek B (DLBCL) (ICD-10 C83)” pod warunkiem rozszerzenia RSS.

Dowody naukowe

Brakuje opublikowanych, wiarygodnych danych na korzyści kliniczne dla wnioskowanej grupy pacjentów.

W badaniu POLARIX wykazano korzyści w zakresie wydłużenia PFS, ale nie wykazano korzyści w zakresie OS i innych istotnych wskaźników klinicznych.

Problem ekonomiczny

Prognozowane wydatki związane z refundacją mogą stanowić duże obciążenie dla płatnika publicznego, ale lek wydaje się efektywny kosztowo w wariancie z RSS. Przeprowadzona przez wnioskodawcę analiza ekonomiczna charakteryzuje się jednak wieloma ograniczeniami: m. in. zbyt optymistyczny horyzont czasowy, populacje pacjentów badań klinicznych będących źródłem założeń dla użyteczności nie odpowiadają populacji docelowej wniosku, dlatego wyniki należy interpretować z ostrożnością.

W wyniku wyszukiwania odnaleziono 1 pozytywną rekomendację refundacyjną (SMC 2023), 1 warunkowo pozytywną rekomendację NICE 2023 oraz 3 negatywne (PBAC 2022, HAS 2023 i G-BA 2022).

Główne argumenty decyzji

- *niewielka korzyść kliniczna, w tym brak istotnych statystycznie różnic pomiędzy wnioskowaną technologią a komparatorem w zakresie przeżycia całkowitego (OS), jakości życia i bezpieczeństwa,*
- *duże obciążenie dla budżetu i niepewność oszacowań dotyczących efektywności kosztowej leku.*

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 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.423.1.14.2023 „Wniosek o objęcie refundacją leku Polivy (polatuzumab wedotyny) w ramach programu lekowego: »Leczenie chorych na chłoniaki B-komórkowe (ICD-10: C82, C83, C85)«”; data ukończenia: 22 czerwca 2023 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

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



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 73/2023 z dnia 3 lipca 2023 roku
w sprawie oceny leku Nexviadyme (avalglucosidasum alfa)
w ramach programu lekowego „Leczenie pacjentów
z chorobą Pompego (ICD-10 E 74.0)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Nexviadyme (avalglucosidasum alfa), proszek do przygotowania koncentratu do sporządzania roztworu do infuzji, 100 mg, 1 fiolka; GTIN: 05909991472474, w ramach programu lekowego „Leczenie pacjentów z chorobą Pompego (ICD-10 E 74.0)”, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie, pod warunkiem obniżenia ceny leku co najmniej do poziomu dostępnego w programie produktu leczniczego Myozyme.

Program lekowy powinien dopuszczać zmianę enzymatycznej terapii zastępczej w przypadku: „wystąpienia objawów niepożądanych albo jeśli w opinii lekarza prowadzącego terapię po ocenie parametrów oddechowych, mięśniowych lub dotyczących jakości życia zmiana taka może przynieść korzyści”, pod warunkiem, iż koszt terapii awalglukozydazą alfa nie będzie wyższy niż stosowana obecnie w programie lekowym alglukozydaza alfa.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Choroba Pompego jest spowodowana niedoborem kwaśnej alfa-glukozydazy, enzymu lizosomalnego uczestniczącego w procesie rozkładu glikogenu do glukozy. Następstwem jest nadmierne gromadzenie się glikogenu w komórkach organizmu, głównie w mięśniach szkieletowych i mięśniu sercowym. Objawy zależą od stopnia zachowanej resztkowej aktywności enzymu. Całkowity brak aktywności prowadzi do ciężkich zaburzeń w pierwszych miesiącach życia, obejmujących uogólnioną wiotkość i kardiomiopatię przerostową ze zwężeniem drogi odpływu z lewej komory (postać o wczesnym początku). Częściowy niedobór enzymu może się ujawnić w każdym wieku nieswoistymi objawami miopatii proksymalnej (niedowład obręczowo-kończynowy) i niewydolności oddechowej, zazwyczaj bez współistniejącej kardiomiopatii (postać o późnym początku).

Choroba może się rozwijać podstępnie przez wiele lat. Retrospektywnie dorośli pacjenci opisują często mniejszą sprawność ruchową już w wieku dziecięcym. U niektórych osób pierwszą stwierdzoną nieprawidłowością jest zwiększone stężenie transaminaz, sugerujące początkowo chorobę wątroby, a w rzeczywistości związane z uszkodzeniem mięśni, co potwierdza podwyższona aktywność kinazy kreatynowej (CK). Dostępne są testy przesiewowe suchej kropli krwi. Rozpoznanie ustala się na podstawie obniżonej aktywności kwaśnej alfa-glukozydazy oraz wyniku badania genetycznego, potwierdzającego występowanie wariantów patogennych w obu allelach genu GAA. Leczenie przyczynowe polegające na enzymatycznej terapii zastępczej zwiększa przeżywalność dzieci z postacią wczesną oraz stabilizuje lub poprawia sprawność ruchową i wydolność oddechową pacjentów z postacią późną. W postaci o wczesnym początku, naturalny przebieg choroby bez enzymatycznej terapii zastępczej jest bardzo niekorzystny, prowadząc do zgonu w pierwszych 2 latach życia.

Postać o późnym początku ma postępujący charakter i może być przyczyną przedwczesnego zgonu. Enzymatyczna terapia zastępcza zmniejsza uszkodzenia mięśni oraz wpływa na poprawę sprawności fizycznej oraz zmniejsza progresję niewydolności oddechowej. Im wcześniej rozpoczyna się leczenie, tym większa jest jego skuteczność.

Awalglukozydaza alfa jest rekombinowaną ludzką kwaśną α -glukozydazą (rhGAA), która stanowi egzogenne źródło kwaśnej alfa-glukozydazy (ang. acid alpha-glucosidase, GAA). Awalglukozydaza jest zmodyfikowaną cząsteczką alglukozydazy alfa, w której około 7 cząsteczek heksamannozy – każda zawierająca 2 końcowe reszty mannozo-6-fosforanu (bis-M6P) – jest sprzężonych z utlenionymi resztami kwasu sialowego na alglukozydazie alfa. Awalglukozydaza alfa charakteryzuje się 15-krotnie większą zawartością reszt mannozo-6-fosforanu (M6P) niż alglukozydaza alfa.

Wykazano, że cząsteczka GAA wiąże się z receptorami M6P na powierzchni komórek za pośrednictwem znajdujących się na niej grup węglowodanowych, po czym jest internalizowana i transportowana do lizosomów, w których ulega rozszczepianiu proteolitycznemu prowadzącemu do zwiększenia jej aktywności enzymatycznej w procesie rozkładu glikogenu.

Dowody naukowe

W ramach przeprowadzonego przeglądu systematycznego odnaleziono 3 badania kliniczne (COMET, mini-COMET, NEO1), z których tylko 1 zostało zaprojektowane celem porównania awalglukozydazy alfa względem alglukozydazy alfa u uprzednio nieleczonych pacjentów z postacią późną choroby Pompego (COMET). Pozostałe badania, do których włączano pacjentów z postacią wczesną oraz uprzednio leczonych alglukozydazą alfa, miały charakter

pilotażowy i przeprowadzono je w celu określenia terapeutycznej dawki awalglukozydazy alfa, oceny profilu bezpieczeństwa i farmakologicznego, a przedstawione wyniki skuteczności miały charakter wyłącznie wstępny i poglądowy. W związku z powyższym możliwość wnioskowania statystycznego w oparciu o badania mini-COMET i NEO1 jest ograniczona i dane z nich należy traktować uzupełniająco.

W badaniu COMET w populacji pacjentów z postacią późną choroby Pompego po 49 tygodniach obserwacji w zakresie pierwszorzędowego punktu końcowego – zmiany przewidywanego FVC względem wartości wyjściowych zarówno w populacji mITT jak i PP potwierdzono, że terapia AVGL jest nie gorsza niż terapia ALGL, jednak nie potwierdzono hipotezy o wyższości AVGL (w populacji mITT: MD = 2,43 [-0,13; 4,99], non-inferiority $p = 0,0074$, superiority $p = 0,063$). Nie zaobserwowano istotnych różnic w zmianie przewidywanego MIP i MEP między badanymi grupami.

W ramach przeprowadzonego przeglądu systematycznego nie odnaleziono żadnych przeglądów systematycznych oraz badań obserwacyjnych, w których opisywano by skuteczność i bezpieczeństwo awalglukozydazy alfa w warunkach rzeczywistej praktyki klinicznej, co wynika z nieodległej daty od rejestracji leku (Europa: czerwiec 2022 r., USA: sierpień 2021 r.). Niemniej dostępne są dane z badania NEO-EXT, opisujące wyniki pacjentów długoterminowo leczonych awalglukozydazą alfa.

Punkt 2 programu lekowego powoduje, że pacjenci będący w trakcie leczenia alglukozydazą alfa mogą dokonać zmiany leczenia na nową terapię tylko w przypadku wystąpienia ciężkich działań niepożądanych. Dotychczasowa terapia alglukozydazą alfa jest bezpieczna, podobnie i jak nowa terapia, nie obserwowano ciężkich działań niepożądanych. Biorąc pod uwagę ewentualne korzyści wynikające z zastosowania nowej terapii, warto umożliwić jednorazową zmianę terapii u pacjenta już leczonego alglukozydazą alfa, w przypadku, kiedy lekarz prowadzący leczenie oraz Zespół Koordynacyjny ds. Chorób Ultrazadkowych uznają to za korzystne w danej sytuacji klinicznej pacjenta.

Problem ekonomiczny

Obecnie w ramach leczenia przyczynowego w Polsce u pacjentów z chorobą Pompego, w całej populacji będącej przedmiotem złożonego wniosku refundacyjnego, stosowana jest ERT z wykorzystaniem alglukozydazy alfa (Myozyme) w ramach programu lekowego B.22 „Leczenie choroby Pompego”. Do chwili obecnej brak jest innych, refundowanych metod leczenia przyczynowego choroby Pompego (inne terapie enzymozastępcze, terapie genowe).

Liczba pacjentów leczona w programie lekowym B.22 Leczenie choroby Pompego (ICD-10 E 74.0) wzrastała każdego roku osiągając wartość 52 pacjentów w 2022

roku. Liczba wszystkich pacjentów, która uczestniczyła w PL B.22 w latach 2014 – 2022 wyniosła 65 pacjentów. W opinii eksperta obecna liczba chorych dotknięta postacią klasyczną to 5 chorych, natomiast postacią nieklasyczną to 55 chorych. Odsetek osób, u których oceniana technologia byłaby stosowana po objęciu jej refundacją wyniesie wg eksperta 50-60% dla poszczególnych postaci.

Wprowadzenie finansowania Nexviadyme w analizowanym wskazaniu będzie się wiązało ze wzrostem wydatków całkowitych z perspektywy płatnika publicznego.

Główne argumenty decyzji

1. 3 rekomendacje pozytywne (NICE 2022, CADTH 2022 i HAS 2022) oraz 1 rekomendacja negatywna (PBAC 2021). W rekomendacjach pozytywnych zwraca się głównie uwagę na porównywalną skuteczność awalglukozydazy i alglukozydazy. W rekomendacjach negatywnych zwraca się głównie uwagę na niepewność wyników dotyczących skuteczności awalglukozydazy w poszczególnych postaciach choroby Pompego oraz wysoki i niepewny współczynnik ICER.
2. Odnalezione wytyczne (europejskie EPC 2017 oraz kanadyjskie CEP 2016) rekomendują stosowanie enzymatycznej terapii zastępczej jako terapii ukierunkowanej na przyczynę choroby Pompego (wytyczne zostały opublikowane przed rejestracją awalglukozydazy).
3. W badaniu COMET u pacjentów z chorobą Pompego po 49 tygodniach obserwacji nie raportowano istotnych różnic między AVGL oraz ALGL w zakresie ogólnego bezpieczeństwa.

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.423.1.12.2023 „Wniosek o objęcie refundacją leku Nexviadyme (awalglukozydaza alfa) we wskazaniu: choroba Pompego”; data ukończenia: 22 czerwca 2023 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

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



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 74/2023 z dnia 3 lipca 2023 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację produktu
lecniczego Calcort (deflazakort) we wskazaniu: zespół nerczycowy

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne wydawanie zgód na refundację produktu leczniczego Calcort (deflazakort) we wskazaniu: zespół nerczycowy.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Zarówno Rada Przejrzystości jak i Prezes Agencji uznali za niezasadne wydawanie zgód na refundację leku Calcort (deflazakort), tabletki 6 mg i 30 mg, we wskazaniu zespół nerczycowy w 2013 roku oraz 2020 roku. Obecne stanowisko Rady Przejrzystości oparte jest o zaktualizowane dane w zakresie istnienia nowych wytycznych praktyki klinicznej, oraz nowych dowodów naukowych dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa ocenianej technologii medycznej.

Zespół nerczycowy (ZN) powstaje w wyniku utraty białka, przede wszystkim albuminy z moczem w ilości przekraczającej możliwości kompensacyjne ustroju. Zwiększone wydalanie białka z moczem spowodowane jest wzmożoną przepuszczalnością błony filtracyjnej kłębuszków nerkowych w wyniku działania różnych czynników patologicznych lub wady ich mikrostruktury. U małych dzieci choroba przyjmuje postać idiopatycznego zespołu nerczycowego wieku dziecięcego, który przebiega z charakterystycznymi objawami klinicznymi i zmianami laboratoryjnymi, ale jego przyczyna nie została wyjaśniona.

Dowody naukowe

Wszystkie rekomendacje (międzynarodowe wytyczne kliniczne KDIGO 2021, IPNA 2022, polskie PTFND 2022) zalecają leczenie dzieci doustnym prednizonem/prednizolonem, zarówno w pierwotnym jak i nawracającym zespole nerczycowym. W leczeniu pierwszej linii zaleca się stosowanie prednizonu przez 4 tygodnie. Autorzy wytycznych IPNA wskazali, że obecnie nie ma wystarczających danych, aby zalecić stosowanie deflazakortu zamiast prednizonu w leczeniu zespołu nerczycowego. Aktualne rekomendacje są spójne z zaleceniami przedstawionymi w poprzednim opracowaniu Agencji - włoskimi

SINePe z 2017 r. oraz polskimi PTNFD z 2015 r., które również zalecały stosowanie prednizonu lub prednizolonu w leczeniu zespołu nerczycowego u dzieci.

Istnieją jedynie nieliczne dowody kliniczne, pochodzące z badań przeprowadzonych na niewielkich grupach pacjentów. Odnaleziono jedno badanie w ostatnich latach, dotyczące terapii kortykosteroidami zespołu nerczycowego u dzieci - przegląd systematyczny Hahn 2020, dotyczący głównie stosowania deflazakortu. Obejmował on 4 badania RCT dotyczące leczenia zespołu nerczycowego deflazakortem u łącznie 118 pacjentów. Autorzy przeglądu uznali, że deflazakort w porównaniu z prednizonem może mieć niewielki wpływ lub go nie mieć na liczbę pacjentów, u których wystąpiła remisja choroby (RR 1,08, 95% CI 0,94 do 1,24; 67 uczestników, 2 badania; I2 = 0%). W badaniu "crossover study" włączonym do przeglądu (Liern 2008) nie stwierdzono różnic w czasie do wystąpienia remisji lub do nawrotu choroby u 11 dzieci leczonych deflazakortem lub metyloprednizolonem. Podobnie Konsultant Krajowy w dziedzinie nefrologii dziecięcej prof. Danuta Zwolińska powołuje się na dane z tego przeglądu, uznając że nie ma pewnych dowodów na wyższość deflazakortu nad prednizonem czy prednizolonem. W opinii ekspertów leku nie stosuje się w Polsce u dorosłych w leczeniu zespołu nerczycowego, ponieważ wystarczające są dostępne preparaty glikokortykosteroidów.

Problem ekonomiczny

Szacunkowa cena netto sprzedaży produktu leczniczego Calcort do apteki, zawierająca marżę hurtową, wynosi 119,90 zł za opakowanie 6 mg, 100 tabletek. W 2022 r. wydano zgody na refundację 10 opakowań po 100 tabletek produktu leczniczego Calcort, tabletki 6 mg, dla jednego pacjenta. Ze względu na to, że Calcort jest stosowany w różnym dawkowaniu i przez różny okres nie jest możliwe wiarygodne oszacowanie kosztu rocznej terapii. Oszacowany koszt za dzienną dawkę leku przypadającą na 1 kg masy ciała wynosi 0,52 zł dla produktu leczniczego Calcort, 6 mg, 0,15 zł dla refundowanych produktów leczniczych zawierających prednizon i 0,18 zł dla refundowanych produktów leczniczych zawierających prednizolon. Przykładowo dla dawki maksymalnej stosowanej w przypadku 12 tygodniowego leczenia pierwszego rzutu populacji pediatrycznej zgodnie z wytycznymi praktyki klinicznej KDIGO 2021 – 6 tygodni przy pełnej dawce, a następnie 6 tygodni dawkowania co drugi dzień. Oszacowany koszt wynosi 936,73 zł.

Główne argumenty decyzji

1. Brak dowodów naukowych uzasadniających stosowanie Calcortu (deflazakortu) zamiast innych glikokortykosteroidów (prednizon, prednizolon) u chorych z zespołem nerczycowym.
2. Brak wytycznych towarzystw naukowych międzynarodowych i polskich uzasadniających stosowanie Calcortu (deflazakortu) zamiast innych

glikokortykosteroidów (prednizon, prednizolon) u chorych z zespołem nerczycowym.

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 opracowanie na potrzeby oceny zasadności dalszego wydawania zgody na refundację nr: OT.4211.7.2023 „Calcort (deflazakort) we wskazaniu: zespół nerczycowy”; data ukończenia: 29 czerwca 2023 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 117/2023 z dnia 3 lipca 2023 roku
o projekcie programu „Rozszerzenie dostępności robotycznie
wspomaganej diagnostyki funkcjonalnej i rehabilitacji dzieci
i młodych dorosłych z mózgowym porażeniem dziecięcym i innymi
zespołami porażennymi na terenie województwa wielkopolskiego”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Rozszerzenie dostępności robotycznie wspomaganej diagnostyki funkcjonalnej i rehabilitacji dzieci i młodych dorosłych z mózgowym porażeniem dziecięcym i innymi zespołami porażennymi na terenie województwa wielkopolskiego”.

Uzasadnienie

Głównym założeniem projektu programu jest poprawa stanu funkcjonalnego u nie mniej niż 75% osób objętych programem poprzez zwiększenie w okresie 3 lat dostępności do robotycznie wspomaganej rehabilitacji.

Cel główny programu jest możliwy do realizacji za pomocą zaplanowanych w programie działań rehabilitacyjnych. Wartość docelową uzasadniają dotychczasowe obserwacje wyników klinicznych uzyskanych na podstawie obecnie realizowanej edycji PPZ. Również cele szczegółowe (poprawa parametrów czasowo-przestrzennych chodu u co najmniej 75% osób objętych programem, poprawa w zakresie parametrów Trójwymiarowej Instrumentalnej Diagnostyki Funkcji Chodu (TIDFCh) u nie mniej niż 75% u dzieci i młodych dorosłych z wrodzonymi i nabytymi neurogennymi zaburzeniami lokomocji (NZL), podniesienie poziomu wiedzy i umiejętności u 70% fizjoterapeutów oraz 70% rodziców/opiekunów), wydają się możliwe do realizacji za pomocą zaplanowanych w programie działań.

Opiniowany program ma być współfinansowany przez Unię Europejską w ramach Europejskiego Funduszu Społecznego w perspektywie finansowej 2021-2027. Całkowity budżet programu oszacowano na 51 500 000 zł. Zgodnie z Wytocznymi dotyczącymi kwalifikowalności wydatków na lata 2021-2027, koszty pośrednie projektu EFS+ są rozliczane z wykorzystaniem stawek ryczałtowych. W przypadku projektów o wartości kosztów bezpośrednich przekraczającej 4 550 tys. PLN stanowi to 10% tych kosztów. Program ma zostać sfinansowany ze środków Europejskiego Funduszu Społecznego Plus, budżetu państwa i wkładu własnego

beneficjenta. Okres realizacji programu został wyznaczony na 3 lata. Dana osoba może uczestniczyć w programie maksymalnie 3 razy w roku oraz maksymalnie 9 razy w ciągu trwania programu.

W 2018 roku Agencja opiniowała już podobny projekt programu p.n. „Rozszerzenie dostępności technologicznie wspomaganej diagnostyki funkcjonalnej i rehabilitacji dzieci i młodych dorosłych z mózgowym porażeniem dziecięcym na terenie województwa wielkopolskiego”. Dotychczasowa realizacja tego programu (od 1 marca 2019 do 31 marca 2023) udowodniła wysoką skuteczność stosowania zaawansowanych technik rehabilitacyjnych, opartych na technologicznie wspomaganym procesie leczenia u dzieci z MPD. Wartości parametrów uległy poprawie u minimum 75% pacjentów uczestniczących w programie. Trwałej poprawie uległy parametry szybkości i wydolności ruchu. U dzieci na początkowych etapach chodzenia poprawa występuje również w aspekcie jakości wzorca chodu. Obecnie opiniowany projekt programu zawiera dwie części: 1. będącą kontynuacją wcześniejszego programu adresowanego do dzieci z MPD, oraz 2. adresowaną do dzieci z innymi schorzeniami nerwowo-mięśniowymi np.: przepukliną oponowo-rdzeniową, zespołem Downa, rzadkimi chorobami neurologicznymi, artrogrypozą, stanami po urazach centralnego układu nerwowego oraz innymi zespołami porażennymi z tego zakresu etiologicznego. Populacja obecnego programu to dzieci oraz młodzi dorośli w przedziale wiekowym 5 - 21 lat z mózgowym porażeniem dziecięcym (748 osób) lub z innymi zespołami porażennymi (328 osób). Projekt zawiera opis etapów i działań podejmowanych w ramach programu. Pierwszym etapem będą działania informacyjno-promocyjne projektu. Drugim etapem będzie przeprowadzenie kwalifikacji uczestników do programu, a następnie ustalenie celu leczenia rehabilitacyjnego. Kolejno zostaną wykonane badania początkowe, a następnie cykl terapeutyczny, badania końcowe oraz działania edukacyjne i szkoleniowe skierowane do rodziców/opiekunów uczestników PPZ oraz fizjoterapeutów. Na zakończenie zostanie przeprowadzone monitorowanie i ewaluacja oraz ankieta satysfakcji. Badania początkowe (realizowane po zakwalifikowaniu uczestnika do programu): np. Time Up&Go Test (TUG), 10 m test chodu (TMWT), 6-minutowy test chodu (6MWT), klasyfikacja funkcjonalna Gross Motor Function Classification System (GMFCS), ocena funkcjonalna Functional Mobility Scale (FMS), Skala Gross Motor Function Measure w części D (stanie) i E (chodzenie, bieganie i skakanie) (GMFM: D,E). Następnym etapem jest cykl terapeutyczny przy zastosowaniu zrobotyzowanych systemów do rehabilitacji chodu (np. zrobotyzowane ortezy, systemy z odciążeniem dynamicznym, egzoskielety). Każdy cykl terapeutyczny rozpoczyna się i kończy badaniem klinicznym obejmującym testy funkcjonalne, badania ankietowe oraz analizę biometrycznych danych wejściowych i wyjściowych uzyskiwanych z urządzeń terapeutycznych. Osoba zakwalifikowana do programu otrzyma

obligatoryjnie 10 sesji terapeutycznych składających się na cykl terapeutyczny. Po zakończeniu pełnego cyklu terapeutycznego zostaną wykonane badania końcowe, podczas których zostaną użyte te same badania i skale/pomiary, jak podczas badań początkowych. Wśród badań końcowych wymieniono: badania kliniczne wraz z czasoprzestrzenną oceną funkcji chodu (skale i pomiary), przeprowadzone bezpośrednio po ukończeniu cyklu terapeutycznego oraz Trójwymiarową, Instrumentalną Diagnostykę Funkcji Chodu (TIDFCh), przeprowadzaną 1 raz w roku trwania programu. Miernik efektywności dotyczący odsetka osób, u których nastąpiła poprawa parametrów chodu zweryfikowany zostanie na podstawie porównania wyników badań początkowych i końcowych, które jednocześnie wskażą mierniki jakościowe odnoszące się do poszczególnego uczestnika programu, takie jak średni czas wykonywania zadania w 10 metrowym teście chodu, średnia poprawa szybkości chodu w 6 minutowym teście chodu itd.

Ze względu na specyfikę programu, który obejmuje nowe rozwiązania terapeutyczne, ewaluacja powinna być procesem długoterminowym i powinna opierać się na porównaniu stanu sprzed wprowadzenia działań w ramach programu, a stanem po jego zakończeniu. W odnalezionych dowodach naukowych (Llamas-Ramos 2022, Ziab 2022, Liu 2022, Olmos-Gómez 2021, Volpini 2021, Chiu 2020, Lefmann 2017, Ravi 2016, Dewar 2014) autorzy zwracali uwagę, że ze względu na fakt, iż wykorzystanie zrobotyzowanych urządzeń, systemów wirtualnej rzeczywistości w rehabilitacji dzieci z MPD jest rozwiązaniem nowym – techniką rozwijającą się, obecne dowody są w dużej mierze niewystarczające (niewielka wielkość próby, heterogeniczność w zakresie wieku, poziomu i typu dysfunkcji) do wyciągnięcia jednoznacznych wniosków nt. skuteczności tego typu rehabilitacji, szczególnie w zakresie efektów długookresowych oraz opracowania wytycznych klinicznych. Zatem ogólne rekomendacje kliniczne dot. rehabilitacji leczniczej pozostają aktualne: zaleca się, aby pacjenci otrzymywali tyle świadczeń terapeutycznych, ile „potrzebują” i są w stanie tolerować, aby przystosować, odzyskać i/lub wrócić do optymalnego osiągnięcia niezależności funkcjonowania (NSF 2017, VHA-DoD 2010).

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.441.374.2017 „Rozszerzenie dostępności robotycznie wspomaganą diagnostyką funkcjonalną i rehabilitacją dzieci i młodych dorosłych z mózgowym porażeniem dziecięcym i innymi zespołami porażennymi na terenie Województwa Wielkopolskiego” realizowany przez: Województwo Wielkopolskie; data ukończenia: czerwiec 2023 oraz aneksu do raportów szczegółowych „Programy z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży – wspólne podstawy oceny” z sierpnia 2016 i raportu „OT.441.57.2017.MiS: „Rozszerzenie dostępności nowoczesnych instrumentalnych metod diagnostyki i rehabilitacji dzieci z mózgowym porażeniem dziecięcym na terenie Województwa Mazowieckiego”.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 118/2023 z dnia 3 lipca 2023 roku
o projekcie programu „Program zdrowotny profilaktyki wtórnej
raka szyjki macicy w oparciu o edukację i wykrywanie
wirusa HPV metodą samopobrania, realizowany
w Gminie Kobierzyce na lata 2023-2025”

Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program zdrowotny profilaktyki wtórnej raka szyjki macicy w oparciu o edukację i wykrywanie wirusa HPV metodą samopobrania, realizowany w Gminie Kobierzyce na lata 2023-2025”.

Uzasadnienie

Program polityki zdrowotnej ma być realizowany na terenie gminy Kobierzyce i zaplanowany jest na lata 2023-25. Zakłada przeprowadzenie działań edukacyjnych oraz samopobrania materiału biologicznego do testu HPV. Populację docelową programu stanowią będą kobiety w wieku 40-50 lat zamieszkujące na terenie gminy. W pierwszej kolejności do programu mają być kwalifikowane kobiety w wieku 40 lat (w 2023 r. kobiety urodzone w 1983 r., w 2024 r. – urodzone w 1984 r. i w 2025 r. – urodzone w 1985 r.). Zaplanowano udział 400 kobiet rocznie (łącznie 1200 osób w trakcie całego okresu realizacji). W momencie braku zgłoszenia się zakładanej liczby osób z danego rocznika możliwe będzie objęcie działaniami kobiet w wieku 41-50 lat. W ramach prowadzonych interwencji zaplanowano działania edukacyjne oraz samopobranie materiału biologicznego do testu HPV w warunkach domowych. Na terenie gminy będzie funkcjonował punkt informacyjny, w którym przeszkolona położna oraz specjalista położnictwa i ginekologii będą informowali o profilaktyce raka szyjki macicy, możliwości wykonania badania cytologicznego dostępnego w ramach NFZ oraz testu HPV dostępnego w ramach ocenianego programu. W punkcie będzie możliwe pobranie zestawu do samopobrania, uzyskanie informacji o prawidłowym sposobie samopobrania oraz oddanie zestawu po pobraniu materiału. Test będzie można również zamówić przez dedykowaną stronę internetową programu. W ramach PPZ zaplanowano także działania edukacyjne, w tym prelekcje ekspertów, rozpowszechnienie materiałów edukacyjnych dot. epidemiologii chorób nowotworowych, istotności badań profilaktycznych

oraz dowodów naukowych potwierdzających skuteczność planowanych interwencji.

Metodą przesiewową najczęściej wskazywaną przez towarzystwa naukowe jest cytologia (ACOG 2021, ACS 2021, HKCHP CEWG 2021, PTGiP/PTKiPSM 2021, BCG 2019, USPSTF 2018, WPSI 2018, ACP 2015, EC 2015, PTOK 2013, CTFPHC 2013). Część odnalezionych wytycznych wskazuje również test HPV jako pierwotne narzędzie przesiewowe (ACOG 2021, ACS 2021, PTGiP/PTKiPSM 2021, HKCHP CEWG 2021, UK NSC 2021, WHO 2021, ESGO-EFC 2020, BCG 2019, CCA 2018, USPSTF 2018, WPSI 2018, RACGP 2017, EC 2015) oraz na możliwość połączenia obydwu powyższych metod (ACOG 2021, ACS 2021, HKCHP CEWG 2021, NIH 2021, USPSTF 2018, WPSI 2018, ACP 2015). Wiele odnalezionych wytycznych rekomenduje prowadzenie badań przesiewowych od 21 r.ż. (ACOG 2021, NIH 2021, USPSTF 2018, WPSI 2018, ACP 2015) lub od 25 r.ż. (ACS 2021, HKCHP CEWG 2021, UK NSC 2021, ESGO-EFC 2020, BGC 2019, CCA 2018, RACGP 2017, CTFPHC 2013). Część odnalezionych wytycznych jako rozpoczęcie prowadzenia badań przesiewowych wskazuje granicę 30 r.ż. (WHO 2021) i 35 r.ż. (EC 2015). W przypadku kobiet powyżej 65 r.ż. rekomendacje wskazują na zaprzestanie prowadzenia badań przesiewowych po uzyskaniu negatywnych wyników we wcześniejszych badaniach przesiewowych (ACOG 2021, ACS 2021, HKCHP CEWG 2021, NIH 2021, UK NSC 2021, WHO 2021, ESGO-EFC 2020, USPSTF 2018, WPSI 2018, ACP 2015, EC 2015). Niektóre rekomendacje jako górną granicę wiekową przesiewu wskazują 69 lat (BCG 2019, CTFPHC 2013) lub nawet 74 lata (RACGP 2017). Rekomendacje wskazują na potrzebę realizacji działań mających na celu zwiększenie uczestnictwa w programach przesiewowych (UK NSC 2021, ESGO/EFC 2020, RACGP 2017, EC 2015).

Planowane koszty całkowite zostały oszacowane na 348 000 zł. Program finansowany będzie z budżetu gminy Kobierzyce.

W Polsce program profilaktyki raka szyjki macicy finansowany ze środków NFZ, adresowany jest do kobiet w wieku 25-59 lat, które nie wykonały badania cytologicznego w ciągu ostatnich 3 lat. U kobiet, które są obciążone czynnikami ryzyka, tj. zakażenie wirusem HIV, przyjmowanie leków immunosupresyjnie, zakażenie HPV wysokiego ryzyka, badanie wykonuje się co 12 miesięcy. W 2019 r. w Polsce zostało poddanych badaniom 17,3% rocznej populacji do przebadania w kierunku raka szyjki macicy. Od 2017 r. wartość ta zmniejszyła się o ok. 5%. W 2019 r. do etapu pogłębionej diagnostyki skierowano cztery razy więcej kobiet niż 2 lata wcześniej (wartości te wynosiły: 2017 r. – 128 na 100 tys. kobiet przebadanych ogółem; 2019 r. – 524 na 100 tys. kobiet przebadanych ogółem). W ramach omawianego Programu Narodowy Fundusz Zdrowia publikuje comiesięczne zestawienie danych w zakresie objęcia populacji docelowej badaniami cytologicznymi. Zgodnie ze stanem na dzień 1 lutego 2022 r.,

w ramach funkcjonowania programu (od 2019 roku) procent objęcia populacji docelowej dla całego kraju wynosi 12,1 %.

Główne argumenty opinii

- 1. Program stanowi powielenie głównego założenia programu zdrowotnego finansowanego przez NFZ, jakim jest wczesne wykrycie raka szyjki macicy.*
- 2. W programie nie określono dalszego postępowania z pacjentkami z wynikiem dodatnim.*

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.431.39.2023 „Program zdrowotny profilaktyki wtórnej raka szyjki macicy w oparciu o edukację i wykrywanie wirusa HPV metodą samopobrania, realizowany w Gminie Kobierzyce na lata 2023-2025” realizowany przez: Gminę Kobierzyce; data ukończenia: czerwiec 2023 oraz Raportu nr: OT.434.2.2022 „Profilaktyka nowotworu szyjki macicy” z kwietnia 2022 r.