



BP.401.34.2023.AG

**Protokół nr 34/2023  
z posiedzenia Rady Przejrzystości  
w dniu 28 sierpnia 2023 roku**

Tomasz Pasierski otworzył posiedzenie o godzinie 10.05

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

1. Damian Czyżewski
2. Dominik Gajewski
3. Tomasz Hryniewiecki
4. Maciej Karaszewski
5. Dorota Kilańska
6. Marcin Lipowski
7. Tomasz Młynarski
8. Tomasz Pasierski
9. Tomasz Romańczyk

Członkowie Rady nieobecni na posiedzeniu:

1. Bogusław Machaliński

Proponowany porządek obrad:

1. Ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie opinii w kwestii zasadności modyfikacji warunków realizacji świadczeń gwarantowanych na poziomie ambulatoryjnej opieki specjalistycznej, w zakresie:
  - 1) rozszerzenia populacji na osoby dorosłe – powyżej 26 r.ż. – w zakresie świadczenia: „Leczenie cukrzycy insuliną z zastosowaniem pompy insulinowej: założenie pompy insulinowej” (obecnie finansowane w cukrzycy typu 1 do 26 r.ż.),
  - 2) doprecyzowania zakresu świadczenia pn. „System Ciągłego Monitorowania Glikemii w czasie rzeczywistym (CGM-RT) u dzieci i młodzieży do 26 roku życia z cukrzycą typu 1 leczonych za pomocą pompy insulinowej” poprzez zmodyfikowanie:
    - kryteriów włączenia do świadczenia, które przyczynią się do rozszerzenia populacji docelowej, a także realizacji świadczenia dla osób z FGM,
    - usunięcie zapisów dotyczących zaopatrzenia pacjenta w odbiornik,
    - wprowadzenie zapisów dot. założenia sensora oraz inicjalizacji systemu,
    - uwzględnienie personelu pielęgniarskiego o odpowiednich kwalifikacjach, który mógłby realizować opiekę nad pacjentem z CGM/FGM, a nie tylko lekarz (jak jest obecnie),
    - umożliwienie realizacji tego świadczenia zarówno w POZ, jak i AOS (FGM i CGM może być zlecany przez POZ.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Kyprolis (carfilzomibum) we ramach programu lekowego „Leczenie chorych na szpiczaka plazmocytozowego (ICD-10: C90.0)”.

4. Przygotowanie opinii w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną trastuzumabum i.v. we wskazaniu pozarejestryjnym: w leczeniu chorych na raka endometrium na podstawie opracowanego załącznika „C. 86. X TRASTUZUMABUM I.V. - projekt załącznika do chemioterapii (off-label, trastuzumab, rak endometrium)”.
5. Przygotowanie opinii w sprawie objęcia refundacją leków zawierających toksynę botulinową typu A we wskazaniach pozarejestryjnych określonych kodami ICD-10: I61, I63, I69, G35, G80, G82, G83, T90, T91.
6. Przygotowanie opinii o projektach programu polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego:
  - 1) „Program polityki zdrowotnej leczenia niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego mieszkańców Gminy Starachowice”,
  - 2) „Program profilaktyki cukrzycy typu 2 dla mieszkańców Gminy Nowiny w wieku 45-64 lat na lata 2024-2028”.
7. Zakończenie posiedzenia.

**Ad 1.** Tomasz Romańczyk zgłosił konflikt interesów dotyczący tematów 3. i 4. porządku obrad, w związku z powyższym podczas głosowania jego głos liczony będzie jako wstrzymujący w zakresie tematów dotyczących trastuzumabum i.v. oraz toksyny botulinowej typu A. Rada jednogłośnie (8 głosów „za”) przyjęła zaproponowany porządek obrad.

**Ad 2.** Analityk Agencji podsumował najważniejsze informacje z raportu dot. zasadności modyfikacji warunków realizacji świadczeń gwarantowanych na poziomie ambulatoryjnej opieki specjalistycznej.

W trakcie prezentacji do posiedzenia dołączyła Dorota Kilańska, która nie zadeklarowała konfliktu interesów.

Projekt opinii Rady przedstawił Marcin Lipowski.

W dyskusji głos zabrali: Tomasz Pasierski, Marcin Lipowski, Maciej Karaszewski, Damian Czyżewski, Tomasz Hryniewiecki, Dorota Kilańska, Tomasz Romańczyk.

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

**Ad 3.** Analityk Agencji przedstawił raport dotyczący objęcia refundacją leku Kyprolis (carfilzomibum) w ramach programu lekowego dotyczącego leczenia chorych na szpiczaka plazmocytoowego.

Projekt stanowiska Rady przedstawił Tomasz Romańczyk.

W dyskusji udział wzięli: Tomasz Pasierski, Tomasz Romańczyk, Maciej Karaszewski oraz Dorota Kilańska.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada uchwaliła negatywne stanowisko (8 głosów „za” i 1 „przeciw”) (załącznik nr 2 do protokołu).

**Ad 4.** Analityk Agencji streścił opracowanie w sprawie objęcia refundacją we wskazaniu pozarejestryjnym leków zawierających substancję czynną trastuzumabum i.v.: w leczeniu chorych na raka endometrium.

Projekt opinii Rady przedstawił: Tomasz Hryniewiecki.

W dyskusji udział wzięli: Tomasz Pasierski, Tomasz Romańczyk i Tomasz Hryniewiecki.

W związku z brakiem innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada (8 głosów „za”, przy 1 głosie „wstrzymującym”) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 3 do protokołu).

**Ad 5.** Analityk Agencji przedstawił raport dotyczący objęcia refundacją leków, których substancją czynną jest toksyna botulinowa typu A we wskazaniach pozarejestacyjnych określonych kodami ICD-10: I61, I63, I69, G35, G80, G82, G83, T90, T91.

Projekt opinii Rady przedstawił Maciej Karaszewski.

W dyskusji udział wzięli: Tomasz Pasierski i Maciej Karaszewski.

W związku z brakiem innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (8 głosów „za”, przy 1 głosie „wstrzymującym”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 4 do protokołu).

**Ad 6.** 1) Analityk Agencji omówił program polityki zdrowotnej dotyczący leczenia niepłodności metodą leczenia pozaustrojowego w gminie Starachowice. Projekt opinii Rady przedstawił Tomasz Młynarski.

Wobec braku głosów w dyskusji Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada (8 głosów „za” i 1 „przeciw”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 5 do protokołu).

2) Analityk Agencji omówił program polityki zdrowotnej dotyczący cukrzycy typu 2 dla mieszkańców Gminy Nowiny w wieku 45-64 lat na lata 2024-2028”. Projekt opinii Rady przedstawił Dominik Gajewski.

W dyskusji głos wzięli: Maciej Karaszewski, Dorota Kilańska, Tomasz Pasierski oraz Dominik Gajewski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada (7 głosów „za” i 2 „przeciw”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 6 do protokołu).

**Ad 7.** Zakończenie posiedzenia 12:59.



Opinia Rady Przejrzystości  
nr 145/2023 z dnia 28 sierpnia 2023 roku  
w sprawie zasadności modyfikacji warunków realizacji świadczeń  
gwarantowanych na poziomie ambulatoryjnej opieki specjalistycznej  
dotyczących Systemu Ciągłego Monitorowania Glikemii  
oraz założenia pompy insulinowej

*Rada Przejrzystości uważa za zasadną modyfikację warunków realizacji świadczeń gwarantowanych na poziomie ambulatoryjnej opieki specjalistycznej w zakresie:*

- 1) rozszerzenia populacji na dorosłych w zakresie świadczenia „Leczenie insuliny z zastosowaniem pompy insulinowej: Założenie pompy insulinowej” (obecnie świadczenie dotyczy pacjentów do 26 r.ż.), pod warunkiem zawężenia kryteriów stosowania;*
- 2) warunków realizacji świadczenia „System Ciągłego Monitorowania Glikemii w czasie rzeczywistym (CGM-RT) u dzieci i młodzieży do 26 roku życia z cukrzycą typu 1 leczonych za pomocą pompy insulinowej”, w kontekście proponowanych zmian dotyczących:*
  - kryteriów włączenia do świadczenia i zmian w nazwie świadczenia,*
  - usunięcia zapisów dotyczących zaopatrzenia pacjenta w odbiornik,*
  - wprowadzenie zapisów dot.: założenia sensora, inicjalizacji systemu, edukacji umożliwiającej w pełni samodzielne posługiwanie się systemem przez pacjenta lub opiekuna,*
  - uwzględnienie pielęgniarki o odpowiednich kwalifikacjach, które mogły by realizować opiekę nad pacjentem z CGM/FGM,*

*Jednocześnie, Rada nie uważa za zasadne umożliwienie realizacji świadczenia „System Ciągłego Monitorowania Glikemii w czasie rzeczywistym (CGM-RT) u dzieci i młodzieży do 26 roku życia z cukrzycą typu 1 leczonych za pomocą pompy insulinowej” w POZ.*

## Uzasadnienie

### Problem decyzyjny

Minister Zdrowia przekazał, w trybie art. 31n pkt 5 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, zlecenie dotyczące przeprowadzenia weryfikacji:

- 1) dowodów naukowych w kwestii zasadności rozszerzenia populacji na dorosłych w zakresie świadczenia: „Leczenie insuliny z zastosowaniem pompy insulinowej: Założenie pompy insulinowej” (obecnie świadczenie obejmuje pacjentów do 26 r.ż. ), w tym analizy publikacji załączonych do zlecenia, oraz
- 2) warunków realizacji świadczenia: „System Ciągłego Monitorowania Glikemii w czasie rzeczywistym (CGM-RT) u dzieci i młodzieży do 26 r.ż. z cukrzycą typu 1 leczonych za pomocą pompy insulinowej”, w kontekście proponowanych zmian mających na celu zachowanie spójności z kryteriami przyznawania elementów systemów CGM-RT i FGM (monitorowanie glikemii metodą skanowania) wskazanych w aktualnie obowiązującym wykazie wyrobów medycznych wydawanych na zlecenie. Proponowane zmiany dotyczą:
  - kryteriów włączenia do świadczenia i zmian w nazwie świadczenia - proponowana zmiana przyczyni się do rozszerzenia populacji docelowej, jak również do realizacji świadczenia dla osób z FGM,
  - usunięcia zapisów dotyczących zaopatrzenia pacjenta w odbiornik - rolę odbiornika powszechnie pełnią bezpłatne aplikacje na własnym telefonie,
  - wprowadzenia zapisów dotyczących założenia sensora, inicjalizacji systemu, edukacji umożliwiającej w pełni samodzielne posługiwanie się systemem przez pacjenta lub opiekuna,
  - uwzględnienia personelu pielęgniarskiego o odpowiednich kwalifikacjach, który mógłby realizować opiekę nad pacjentem stosującym CGM/FGM – obecnie opiekę tę sprawuje tylko lekarz,
  - umożliwienia realizacji tego świadczenia zarówno w POZ, jak i w AOS (CGM i FGM może być zlecany przez POZ).

Zasadniczym celem oceny ww. zmian jest:

- a) potwierdzenie zasadności usunięcia kryterium wieku podczas kwalifikacji/kontynuacji leczenia insuliny za pomocą pompy insulinowej – świadczenie obejmowałoby wszystkich uprawnionych pacjentów,
- b) dostosowanie opisu warunków realizacji świadczenia gwarantowanego pn. „System Ciągłego Monitorowania Glikemii w czasie rzeczywistym (CGM-RT) u dzieci i młodzieży do 26 roku życia z cukrzycą typu 1 leczonych za pomocą pompy insulinowej” do wymagań zawartych w aktualnie obowiązującym „Wykazie wyrobów medycznych wydawanych na zlecenie”, określonych

dla sensorów i transponderów do systemów CGM-RT oraz czujników do syst. FGM.

Rozszerzenie populacji na dorosłych w zakresie świadczenia: „Leczenie insuliny z zastosowaniem pompy insulinowej: Założenie pompy insulinowej”

Świadczenie opieki zdrowotnej „Leczenie insuliny z zastosowaniem pompy insulinowej: założenie pompy insulinowej” nie było wcześniej przedmiotem opinii Rady Przejrzystości.

Dowody naukowe

Problematyka stosowania osobistych pomp insulinowych została ujęta w treści sześciu aktualnych rekomendacji i wytycznych klinicznych różnych towarzystw naukowych (PTD 2023, ADA 2023, NICE 2022, LEDC 2022, DDG 2018, SIGN 2017). W analizowanych wytycznych nie odnaleziono rekomendacji wskazujących na granicę wieku, po przekroczeniu której powinno dążyć się do zaprzestania użytkowania pompy insulinowej.

Analizując zasadność rozszerzenia populacji na dorosłych w zakresie ww. świadczenia, odniesiono się do publikacji naukowych wskazanych w zleceniu MZ. PTD 2022 podaje, że zalecanym modelem leczenia cukrzycy typu 1 jest intensywna funkcjonalna insulinoterapia przy zastosowaniu wielokrotnych, podskórnych dawek insuliny (MDI) lub ciągłego podskórnego wlewu insuliny prowadzonego za pomocą pompy insulinowej. Wytyczne PTD nie ograniczają wskazań do stosowania pompy insulinowej do pacjentów poniżej 26 r.ż. Pozostałe publikacje (przegląd systematyczny z metaanalizą William 2022, przegląd autorski badań Martin 2019 oraz analiza ekonomiczna Wan 2018) reprezentują różne poziomy dowodów naukowych. Przegląd Martin 2019 stanowi dowód naukowy o niskiej jakości, a komparatorem dla wlewu insuliny za pomocą pompy (CSII) jest CGM, a nie alternatywna metoda podania insuliny, jak np. MDI, co sprawia, że rozpatrywanie tej publikacji można uznać za bezzasadne. Badanie wtórne William 2022 odnosi się do różnicy skuteczności klinicznej insulinoterapii przy użyciu pompy insulinowej względem metody MDI, natomiast badanie pierwotne Wan 2018 stanowi analizę ekonomiczną rozpatrującą przewagę jednej z ww. metod insulinoterapii w kontekście efektywności kosztów. Podsumowując, analiza tak małego i różnorodnego materiału dowodowego o stosunkowo niskiej jakości może prowadzić do błędnego wnioskowania.

Celem analizy zasadności rozszerzenia populacji na dorosłych w ramach ww. świadczenia przeprowadzono pogłębiony przegląd dowodów naukowych, do którego włączono 11 publikacji, w tym trzy badania wtórne (Chatziravdeli 2023, William 2022, Thomas 2021) oraz osiem badań pierwotnych (Beck 2017, Heller 2017, Feig 2018, Blevins 2021, Grunberger 2020, Chlup 2018, Vigersky

2018, Xie 2017) oceniających skuteczność i bezpieczeństwo insulinoterapii za pomocą CSII względem MDI. W przeważającej liczbie badań insulinoterapia przy użyciu pompy insulinowej charakteryzuje się porównywalną skutecznością i bezpieczeństwem jak insulinoterapia metodą MDI, a różnica między grupami w wynikach dla poszczególnych punktów końcowych jest statystycznie nieistotna.

### Problem ekonomiczny

W ramach analizy ekonomicznej przeprowadzono szacowanie wydatków inkrementalnych dla płatnika publicznego. Prognozowana liczba pacjentów powyżej 26 r.ż. w latach 2024–2026, która kontynuowałaby leczenie pompą insulinową w ramach świadczenia, i na przestrzeni 3 najbliższych lat wymagałaby wymiany pompy insulinowej, uwzględniając maksymalny scenariusz populacyjny wyniosłaby, odpowiednio, 366, 499 i 477, co może przełożyć się na prawdopodobne wydatki w horyzoncie 3-letnim w wariancie maksymalnym wynoszące, odpowiednio, około 4 647 212, 6 335 953 i 6 056 612 zł.

Należy mieć jednak na uwadze, że powyższe oszacowanie uwzględnia jedynie pacjentów, którzy aktualnie użytkują pompę insulinową, a wielkość całej potencjalnej populacji osób dorosłych, którzy ukończyli 26. r.ż. kwalifikującej się do leczenia cukrzycy za pomocą osobistych pomp insulinowych, a co za tym idzie także potencjalnych wydatków płatnika, jest niezwykle trudne.

### Weryfikacja warunków realizacji świadczenia „System Ciągłego Monitorowania Glikemii w czasie rzeczywistym (CGM-RT) u dzieci i młodzieży do 26 roku życia z cukrzycą typu 1 leczonych za pomocą pompy insulinowej”

Według najnowszego „Wykazu wyrobów medycznych wydawanych na zlecenie” refundacją objęte są następujące elementy systemów CGM-RT oraz FGM:

- sensory do systemów ciągłego monitorowania glikemii (CGM-RT),
- transmitery/nadajniki do systemów CGM-RT,
- czujniki do systemu monitorowania stężenia glukozy flash (FGM), który zastępuje monitorowanie poziomu glikemii glukometrem do 3 sztuk.

Wykaz ten szczegółowo określa m.in. kryteria przyznawania oraz personel uprawniony do wystawiania zlecenia na zaopatrzenie w ww. wyroby medyczne.

Warunki realizacji świadczenia gwarantowanego „System Ciągłego Monitorowania Glikemii w czasie rzeczywistym (CGM-RT) u dzieci i młodzieży do 26 r. ż. z cukrzycą typu 1 leczonych za pomocą pompy insulinowej”, określone w załączniku nr 5 do rozporządzenia MZ z dn. 6 listopada 2013 r. „w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu ambulatoryjnej opieki zdrowotnej”, obejmują wyszczególnienie wymagań odnoszących się do: kryteriów kwalifikacji, zakresu świadczenia, personelu, wyposażenia w sprzęt i aparaturę oraz zapewnienie realizacji dodatkowych badań. Jednak kryteria te i wymagania

dla personelu medycznego nie są spójne z wymaganiami wskazanymi w aktualnym „Wykazie wyrobów medycznych wydawanych na zlecenie”.

Wobec powyższego, wypracowano propozycję modyfikacji warunków realizacji analizowanego świadczenia gwarantowanego uwzględniając:

- aktualne kryteria przyznawania refundacji na elementy systemów CGM-RT oraz FGM ujęte w „Wykazie wyrobów medycznych wydawanych na zlecenie” oraz kryteria dla personelu uprawnionego do wystawiania zlecenia na zaopatrzenie w te wyroby medyczne,
- aktualne warunki realizacji świadczenia: „System Ciągłego Monitorowania Glikemii w czasie rzeczywistym (CGM-RT) lub system do odczytu glikemii metodą skanowania sensora (FGM)” ujęte w rozporządzeniu MZ z dn. 6 listopada 2013 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu AOS,
- zakres zmian przedstawiony w zleceniu MZ – zawarty w Karcie Świadczenia Opieki Zdrowotnej pn. „Kwalifikacja i zastosowanie systemu Ciągłego Monitorowania Glikemii w czasie rzeczywistym (CGM-RT) u pacjentów z cukrzycą typu 1 lub 3 leczonych za pomocą pompy insulinowej”,
- opinię Konsultantki Krajowej w dz. pielęgniarstwa diabetologicznego.

Wśród proponowanych modyfikacji na szczególną uwagę zasługują:

- rozszerzenie świadczenia także na systemy FGM,
- kwalifikację do systemów CGM-RT pacjentów z cukrzycą typu 1 albo 3 wymagających intensywnej insulinoterapii, z nieświadomością hipoglikemii (brak objawów prodromalnych hipoglikemii, wykluczenie hipoglikemii poalkoholowej), niezależnie od tego, czy ukończyli 26 lat czy nie,
- uwzględnienie personelu pielęgniarzkiego o odpowiednich kwalifikacjach, który mógłby realizować opiekę nad pacjentem z CGM/FGM – obecnie w opiekę włączony jest tylko lekarz,
- usunięcie zapisów dotyczących zaopatrzenia pacjenta w odbiornik z uwagi na powszechną dostępność bezpłatnych aplikacji na własny telefon.

Szczegółowe zapisy proponowanych modyfikacji warunków realizacji analizowanego świadczenia zostały przedstawione w raporcie AOTMiT (opracowanie analityczne nr WS.422.17.2023 z dn. 24.08.2023 r.)

Proponowane zmiany zostały w zdecydowanej większości pozytywnie zaopiniowane przez ekspertów klinicznych z dziedziny diabetologii ankietowanych przez Agencję. Jedyne Konsultant Krajowa w dziedzinie medycyny rodzinnej odniosła się negatywnie do umożliwienia realizacji przedmiotowego świadczenia w ramach POZ.

### Problem ekonomiczny



Prognozowana liczba pacjentów na lata 2024–2026, która skorzystałaby z przedmiotowego świadczenia w ramach AOS wynosi, odpowiednio, około 20 511, 22 892 i 25 273. Przyjmując założenia dotyczące liczebności populacji docelowej oraz wariantów cenowych, prawdopodobne wydatki płatnika publicznego w horyzoncie 3-letnim, przy założeniu rozpoczęcia rozliczania świadczenia od 2024 roku, wyniosłyby w przypadku:

- wariantu cenowego minimalnego (na podstawie wyceny AOTMiT): od ok. 3,2 mln zł w pierwszym roku do ok. 3,9 mln zł w trzecim roku refundacji,
- wariantu cenowego maksymalnego (na podstawie KŚOZ): od ok. 6,2 mln zł w pierwszym roku do ok. 7,6 mln zł w trzecim roku refundacji.

Z uwagi na liczne ograniczenia powyższe szacowanie ma charakter poglądowy.

#### Główne argumenty decyzji

- Rozszerzenie zakresu świadczenia gwarantowanego, dotyczącego insulinoterapii z wykorzystaniem osobistej pompy insulinowej, na pacjentów powyżej 26 r.ż. (tj. usunięcie kryterium wieku), w połączeniu z systemem CGM zapewni możliwość terapii zintegrowanej zgodnej z aktualnymi standardami leczenia cukrzycy, przy akceptowalnym wzroście wydatków płatnika publicznego.
- Modyfikacja dotychczasowych warunków realizacji świadczenia: „System Ciągłego Monitorowania Glikemii w czasie rzeczywistym (CGM-RT) u dzieci i młodzieży do 26 r.ż. z cukrzycą typu 1 leczonych za pomocą pompy insulinowej” zwiększy dostępność do wyrobów medycznych oraz poprzez uszczegółowienie i ujednoczenie obowiązujących zapisów, pozwoli na wyeliminowanie problemów interpretacyjnych.

#### Uwaga Rady Przejrzystości:

W ramach modyfikacji warunków realizacji świadczenia gwarantowanego „System Ciągłego Monitorowania Glikemii w czasie rzeczywistym (CGM-RT) u dzieci i młodzieży do 26 r.ż. z cukrzycą typu 1 leczonych za pomocą pompy insulinowej” istotne jest zachowanie spójności z kryteriami przyznawania elementów systemów CGM-RT i FGM wskazanych w aktualnym „Wykazie wyrobów medycznych wydawanych na zlecenie”. Wątpliwości budzi konieczność dostosowywania brzmienia świadczenia gwarantowanego z zakresu AOS do okresowo/często zmieniającego się rozporządzenia MZ „w sprawie wykazu wyrobów medycznych wydawanych na zlecenie”, w którym poziom szczegółowości kryteriów przyznawania refundacji jest wyższy niż w wykazie świadczeń gwarantowanych z zakresu AOS. Wskazane są rozwiązania ułatwiające synchronizację dwóch ww. aktów prawnych celem uniknięcia problemów interpretacyjnych.

*Zasadne jest przygotowanie ścieżki edukacyjnej pacjenta, dla ułatwienia jego nawigacji w systemie.*

**Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt 4 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2022 r., poz. 2561 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania analitycznego AOTMiT nr WS.422.17.2023 „Ocena zasadności modyfikacji warunków realizacji świadczeń gwarantowanych na poziomie ambulatoryjnej opieki specjalistycznej: »Leczenie cukrzycy insuliną z zastosowaniem pompy insulinowej: założenie pompy insulinowej«; »System Ciągłego Monitorowania Glikemii w czasie rzeczywistym (CGM-RT) u dzieci i młodzieży do 26 roku życia z cukrzycą typu 1 leczonych za pomocą pompy insulinowej«”; data ukończenia: 24.08.2023 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 95/2023 z dnia 28 sierpnia 2023 roku  
w sprawie oceny leku Kyprolis (karfilzomib)  
w ramach programu lekowego „Leczenie chorych  
na szpiczaka plazmocytowego (ICD-10 C90.0)”

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

- *Kyprolis (karfilzomib), proszek do sporządzania r-ru do inf, 60 mg, 1 fiol., kod GTIN: 05909991256388,*
- *Kyprolis (karfilzomib), proszek do sporządzania r-ru do inf, 10 mg, 1 fiol., kod GTIN: 05909991298463,*
- *Kyprolis (karfilzomib), proszek do sporządzania r-ru do inf, 30 mg, 1 fiol., kod GTIN: 05909991298470,*

*w skojarzeniu z daratumumabem i deksametazonem, w ramach programu lekowego „Leczenie chorych na szpiczaka plazmocytowego (ICD-10 C90.0)”.*

#### **Uzasadnienie**

##### Problem decyzyjny

*Szpiczak mnogi (szpiczak plazmocytowy, PCM) jest wieloetapowo przebiegającą chorobą nowotworową, charakteryzującą się niekontrolowaną, wieloogniskową proliferacją monoklonalnych plazmocytów w szpiku wytwarzających monoklonalną immunoglobulinę bądź jej fragmenty i powodujących uszkodzenia narządowe. Szpiczak mnogi stanowi ok. 1% wszystkich nowotworów złośliwych i ok 14% nowotworów układu krwiotwórczego. Zapadalność roczna w Europie waha się od 4,5/100 000 do 6/100 000. Występuje nieco częściej u mężczyzn, szczyt zachorowań przypada na 7. dekadę życia (mediana wieku 70 lat). Około 5% chorych jest w wieku < 60 lat, a 2% przed 40 r.ż. W Polsce zarejestrowano: 1 504 w 2013 r. i 1 413 w 2012 r. nowych zachorowań na szpiczaka mnogiego i inne nowotwory z komórek plazmatycznych, jednak dane te są najprawdopodobniej zaniżone z powodu niedorejestrowania. Brak jest danych epidemiologicznych dla nawrotowego/opornego szpiczaka mnogiego. Szpiczak mnogi pozostaje nieuleczalną chorobą, w której ok. 1/3 pacjentów*

nie odpowiada na I linię leczenia, a ewentualny nawrót choroby występuje u praktycznie wszystkich pacjentów, którzy uzyskali wstępną odpowiedź. Mediana czasu przeżycia chorych z objawową postępującą postacią choroby wynosi około 5-7 lat. Mediana czasu przeżycia u pacjentów z nawrotem choroby wynosi tylko 1,5 roku. Na przestrzeni lat 2014-2022 zidentyfikowano łącznie 26 371 pacjentów ze sprawozdanym leczeniem celowanym na szpiczaka plazmocytozowego

Produkt leczniczy Kyprolis (karfilzomib) był trzykrotnie (w 2018, 2019 i 2023r.) przedmiotem oceny w AOTMiT we wnioskowanym wskazaniu i uzyskał w 2019 i 2023 roku pozytywne Stanowisko Rady Przejrzystości oraz pozytywną Rekomendację Prezesa Agencji.

Wskazanie rejestracyjne Kyprolis (karfilzomib) obejmuje leczenie w skojarzeniu z daratumumabem i deksametazonem, z lenalidomidem i deksametazonem lub tylko z deksametazonem. Jest wskazany do stosowania w leczeniu dorosłych pacjentów ze szpiczakiem mnogim, u których wcześniej zastosowano przynajmniej jeden schemat leczenia.

Najnowsza wersja programu B.54 wskazuje, że karfilzomib jest refundowany w schematach:

- w skojarzeniu z deksametazonem,
- w skojarzeniu z lenalidomidem i deksametazonem.

Schemat Kd (karfilzomib + deksametazon) jest refundowany w drugiej do czwartej linii leczenia, z LVEF  $\geq$  40% i bez niewydolności serca w stopniu III i IV wg klasyfikacji NYHA lub bez przebytego w ciągu ostatnich 4 miesięcy zawału mięśnia sercowego lub bez zdiagnozowanej niekontrolowanej choroby niedokrwiennej serca oraz bez niekontrolowanych farmakologicznie nieprawidłowych zmian przewodzenia impulsów w mięśniu sercowym

#### Dowody naukowe

Zarówno polskie jak i zagraniczne wytyczne praktyki klinicznej dotyczące postępowania w leczeniu nawrotowego/opornego na leczenie szpiczaka plazmocytozowego nie prezentują jednolitego standardu postępowania. Wszystkie wytyczne wskazują, iż wybór sposobu leczenia uwarunkowany jest szeregiem czynników i wymaga indywidualnego podejścia do pacjenta. Najczęściej wśród terapii zalecanych przez wytyczne w nawrotowym/opornym szpiczaku w przypadku pierwszej wznowy/progresji choroby wymieniane są schematy: PVd, DVd, DRd, KRd, IRd, DKd, IzaPd, IzaKd, IPd oraz ERd.

Odnaleziono 9 dokumentów z wytycznymi: polskimi (PGSz 2023, PTOK 2020), brytyjskimi (NICE 2022), europejskimi (EHA-ESMO 2021), amerykańskimi (ASCO 2019, IMWG2021, NCI 2021, NCCN 2023) oraz australijskimi (MSAG 2022). Zarówno wytyczne polskie, jak i zagraniczne podkreślają skuteczność stosowania schematów trójlekowych. W przypadku pierwszej wznowy/progresji choroby

dobór terapii w zależności od występowania oporności na lenalidomid, podawany wśród pacjentów w pierwszej linii leczenia. Wytyczne rekomendują schemat KDd (skojarzenie karfilzomibu z daratumumabem i deksametazonem) w leczeniu nawrotowego, opornego na leczenie szpiczaka plazmocytoowego (NCI 2022), podkreślając rolę tego schematu u pacjentów opornych na terapię lenalidomidem (PGSz 2023, NCCN 2023, EHA-ESMO 2021, IMWG 2021), u pacjentów bez oporności na lenalidomid (IMWG 2021) oraz u pacjentów opornych na bortezomib (EHA-ESMO 2021).

Analiza kliniczna obejmuje 1 randomizowane badanie kliniczne dotyczące skuteczności i bezpieczeństwa karfilzomibu w skojarzeniu z daratumumabem i deksametazonem (KDd) w porównaniu z karfilzomibem stosowanym w skojarzeniu z deksametazonem (Kd): CANDOR (Dimopoulos 2020, Landgren 2022, Quach 2021, Siegel 2021, Usmani 2022), obejmujące pacjentów z nawrotowym lub opornym na leczenie szpiczakiem plazmocytoowym; 2 badania bez randomizacji, oceniające zastosowanie schematu KdD: EQUULEUS (publikacja Chari 2019) oraz Terpos 2021; 1 publikację prezentującą wyniki porównania pośredniego metodą MAIC schematów KDd i DVd (Weisel 2022); 1 abstrakt konferencyjny prezentujący wyniki porównania pośredniego metodą MAIC schematów KDd i PVd (Chari 2021) oraz 1 publikację porównującą schematy dawkowania KdD (Leleu 2021).

Ponadto dostępne są nieopublikowane dane wnioskodawcy pozwalające na porównanie schematów KDd ze schematami DVd i PVd.

Wnioskodawca włączył 3 badania wtórne dotyczące wnioskowanej populacji: 2 przeglądy systematyczne z metaanalizą Botta 2021, Mohyuddin 2021 oraz 1 przegląd systematyczny bez metaanalizy Arnall 2022.

Należy zauważyć, że projekt podstawowego badania CANDOR uniemożliwił ocenę znaczenia karfilzomibu, a jedynie pozwala ocenić jedynie wpływ dodania daratumumabu do schematu Kd. Zaobserwowano znamienne statystycznie dłuższy okres przeżycia wolnego od progresji w grupie leczonej schematem KDd (18-miesięczne PFS uzyskało 62% pacjentów (95% CI: 55,4%; 67,1%) w grupie KDd oraz 43% pacjentów (95% CI: 32,4%; 52,8%) w grupie Kd). W zakresie przeżycia całkowitego nie odnotowano IS różnicy pomiędzy schematami KDd i Kd w zakresie przeżycia całkowitego (cała populacja z badania), HR=0,78 (95%CI: 0,60; 1,03), p=0,0417. W grupie leczonej schematem KDd IS częściej niż w grupie leczonej Kd występowały jakiegokolwiek działania niepożądane, zdarzenia niepożądane  $\geq 3$  stopnia oraz ciężkie zdarzenia niepożądane. W badaniu Leleu 2021 schemat dotyczący podawania karfilzomibu w dawce 70 mg raz w tygodniu (dawkowanie proponowane w programie lekowym) powodował mniej ciężkich zdarzeń niepożądanych i mniej zdarzeń niepożądanych prowadzących do zgonu niż schemat dawkowania karfilzomibu z badania CANDOR (56 mg dwa razy w tygodniu).

### Problem ekonomiczny

Dane NFZ za 2022 rok dla produktu jednostkowego karfilzomib niezależnie od produktu kontraktowego (programu lekowego) wskazują,

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy stosowanie schematu KDd (karfilzomib + daratumumab + deksametazon) w miejsce każdego z uwzględnionych komparatorów jest droższe i skuteczniejsze.

Objęcie refundacją produktu leczniczego Kyprolis w ramach wnioskowanego wskazania w istniejącym programie lekowym B.54, spowoduje, że wydatki płatnika publicznego ponoszone w populacji docelowej w stosunku do scenariusza istniejącego, w pierwszym roku analizy oraz w roku kolejnym. Składowa kosztu, stanowiąca kwotę refundacji produktu leczniczego Kyprolis, wynosi kolejno

### Główne argumenty decyzji

1. Udowodniona skuteczność kliniczna innych schematów leczenia z zastosowaniem leku Kyprolis (karfilzomib),
2. Brak efektywności kosztowej w zaproponowanym schemacie leczenia preparatem Kyprolis w zaproponowanych schemacie leczenia.
3. Konieczność uszczegółowienia i doprecyzowania wskaźników w programie lekowym.

### **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.423.1.25.2023 „Kyprolis (karfilzomib) w ramach programu lekowego »Leczenie chorych na szpiczaka plazmocytozowego (ICD-10 C90.0)«”; data ukończenia: 16.08.2023 r.

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

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem Amgen 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 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:** Amgen sp. z o.o.



Opinia Rady Przejrzystości  
nr 146/2023 z dnia 28 sierpnia 2023 roku  
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną  
trastuzumab i.v. w wybranych wskazaniach pozarejestracyjnych

*Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną trastuzumab i.v. w skojarzeniu z karboplatiną i paklitakselem we wskazaniach pozarejestracyjnych: zaawansowany lub nawrotowy surowiczy rak endometrium z nadekspresją białka HER2.*

**Uzasadnienie**

*Rak endometrium jest najczęstszym rodzajem raka macicy, stanowiącym ponad 90% przypadków. Częściej występuje u kobiet po menopauzie, najwięcej zachorowań występuje w 60.-70. r.ż. Wg KRN 5-letnie wskaźniki przeżyć wynoszą ok. 78,7%. W 2018 roku w Polsce zarejestrowano 6 059 nowych przypadków raka trzonu macicy oraz 1 781 zgonów z tego powodu. Surowiczy rak endometrium to nowotwór o wysokim stopniu złośliwości. Zgodnie z obwieszczeniem Ministra Zdrowia z 20. czerwca 2023 r. w ocenianym wskazaniu refundowane są: carboplatinum, cisplatinum, cyklofosfamidum, dacarbazinum, doxorubicinum, epirubicinum, etoposidum, fluorouracilum, ifofosfamidum, paclitaxelum, tamoxifenum, vincristinum oraz vinorelbinum.*

*Analizę skuteczności oparta jest o wyniki randomizowanego badania drugiej fazy Fader 2018, w którym oceniano karboplatinę z paklitakselem z lub bez trastuzumabu u 58 pacjentek z HER2/neu+, dodatkowo zróżnicowaną – z chorobą zaawansowaną (41) lub nawrotową (17). Czas przeżycia całkowitego był znamienne dłuższy u chorych z pierwotnym zaawansowaniem w stopniach III i IV, natomiast istotnej różnicy nie odnotowano w przypadku chorych z rakiem nawrotowym. Nie osiągnięto istotnej statystycznie odpowiedzi na leczenie. W badaniu tym 57 z 58 włączonych pacjentów doświadczyło więcej niż jednego zdarzenia niepożądanego podczas trwania terapii, najczęściej występowało nadciśnienie tętnicze (5 chorych).*

*Rekomendacje dotyczące stosowania trastuzumabu w zaawansowanym lub nawrotowym raku endometrium odnaleziono w trzech z siedmiu wytycznych klinicznych - trastuzumab w skojarzeniu z karboplatiną i paklitakselem rekomenduje Polskie Towarzystwo Ginekologii Onkologicznej (PTGO), National*



*Comprehensive Cancer Network (NCCN – 2A) oraz German Guideline Program in Oncology (GGPO). Pozostałe organizacje nie odniosły się do miejsca trastuzumabu w terapii raka endometrium, lub tylko odnotowały badanie kliniczne Fader 2018. Nie ma wytycznych dotyczących refundacji trastuzumabu w surowiczym raku endometrium. Czterech z pięciu ekspertów wyraziło pozytywną opinię na temat dodatku trastuzumabu w chemioterapii u pacjentek z surowiczym rakiem endometrium, motywując ją złym rokowaniem tych pacjentek i wynikami badania Fader z 2018 roku.*

*Prognozowana liczba chorych leczonych technologią wnioskowaną wynosi 233 chorych w 1 roku refundacji oraz 237 chorych w 2 roku refundacji. Wyniki analizy wskazują, że stosowanie trastuzumabu w skojarzeniu z paklitakselem i karboplatyną w miejsce paklitakselu i karboplatyny w populacji docelowej spowoduje wzrost wydatków płatnika o około 4,053 mln złotych w 2024 oraz około 4,124 mln złotych w 2025 roku.*

#### Główne argumenty decyzji

- *Stosowanie trastuzumabu w skojarzeniu z karboplatyną i paklitakselem w leczeniu chorych na zaawansowanego lub nawrotowego surowiczego raka endometrium z nadekspresją białka HER2 (off-label) nie jest dostatecznie uzasadnione naukowo.*
- *Decyzja w tej sprawie powinna być podjęta po uzyskaniu bardziej wiarygodnych wyników.*

#### **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 finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr: OT.422.1.35.2023 „Trastuzumab w skojarzeniu z karboplatyną i paklitakselem we wskazaniu: leczenie chorych na zaawansowanego lub nawrotowego surowiczego raka endometrium z nadekspresją białka HER2 (off-label)”; data ukończenia: 24 lipca 2023 r.



Opinia Rady Przejrzystości  
nr 147/2023 z dnia 28 sierpnia 2023 roku  
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających  
substancję czynną toksyna botulinowa typu A  
w wybranych wskazaniach pozarejestacyjnych

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną toksyna botulinowa typu A we wskazaniach:*

1. *pacjenci w wieku 2 lat i powyżej, z udokumentowanym rozpoznaniem mózgowego porażenia dziecięcego (ICD-10 G80), porażenia połowicze (ICD-10 G81) oraz porażenia kończyn dolnych i czterokończynowego (ICD-10 G82) z towarzyszącą spastycznością ograniczającą funkcjonowanie lub zagrażającą rozwojem utrwalonych przykurczy mięśniowych i deformacji kostno-stawowych z potwierdzoną spastycznością kończyny dolnej lub górnej w stopniu umiarkowanym lub wyższym (wynik w zmodyfikowanej skali Ashwortha – MAS  $\geq$  2) w przynajmniej jednej grupie mięśniowej oraz adekwatną wydolnością narządową określoną na podstawie wyników badań laboratoryjnych krwi zgodnie z zapisami aktualnej ChPL, nieobecnością istotnych schorzeń współistniejących stanowiących przeciwwskazanie do terapii stwierdzonych przez lekarza prowadzącego w oparciu o aktualną ChPL, brakiem przeciwwskazań do stosowania toksyny botulinowej typu A zgodnie z aktualną ChPL, poza okresem ciąży lub karmienia piersią;*
2. *pacjenci w wieku 18 lat i powyżej:*
  - a) *po przebytych niedokrwiennym lub krwotocznym udarze mózgu (ICD-10 I61, I63, I69), udokumentowanym wypisem ze szpitala lub*
  - b) *po przebytych urazie OUN (ICD-10 T90, T91) udokumentowanym wypisem ze szpitala lub*
  - c) *z udokumentowanym rozpoznaniem stwardnienia rozsianego (ICD-10 G35) lub*
  - d) *z udokumentowanym rozpoznaniem paraplegii spastycznej (ICD-10 G82, G83)**oraz z potwierdzoną spastycznością kończyny dolnej w stopniu umiarkowanym lub wyższym (wynik w zmodyfikowanej skali Ashwortha – MAS  $\geq$  2) w przynajmniej jednej grupie mięśniowej oraz adekwatną*

wydolnością narządową określoną na podstawie wyników badań laboratoryjnych krwi zgodnie z zapisami aktualnej ChPL, nieobecnością istotnych schorzeń współistniejących stanowiących przeciwwskazanie do terapii stwierdzonych przez lekarza prowadzącego w oparciu o aktualną ChPL, brakiem przeciwwskazań do stosowania toksyny botulinowej typu A zgodnie z aktualną ChPL, poza okresem ciąży lub karmienia piersią;

– w ramach jednego programu lekowego: Leczenie spastyczności kończyn z użyciem toksyny botulinowej typu A (ICD–10: I61, I63, I69, G35, G80, G82, G83, T90, T91), zastępującego dotychczasowe programy: B.30. Leczenie spastyczności w mózgowym porażeniu dziecięcym (ICD-10 G 80) oraz B.57.- Leczenie spastyczności kończyny górnej i/lub dolnej po udarze mózgu z użyciem toksyny botulinowej typu A (ICD–10 I61, I63, I69).

Rada Przejrzystości uznaje, że wszystkie dostępne leki zawierające substancję czynną toksyna botulinowa typu A powinny być refundowane w nowym programie lekowym w ramach wspólnej grupy limitowej.

#### **Uzasadnienie**

Spastyczność powstaje w przebiegu różnych schorzeń neurologicznych i cechuje się wzrostem napięcia mięśniowego zależnym od rozciągania mięśnia w wyniku utraty kontroli czuciowo-ruchowej napięcia mięśniowego z powodu uszkodzenia górnego neuronu ruchowego. Spastyczność przyczynia się do: utrudnienia rehabilitacji i odzyskania sprawności ruchowej, bólu, utrudnienia higieny i samoobsługi, wycofania się z życia towarzyskiego i społecznego, gorszej samooceny, pogorszenia nastroju i jakości życia. Sprzyja ona także powstawaniu trwałych przykurczów, deformacji stawowych, odleżyn, zakrzepicy żyłnej oraz infekcji.

Aktualnie wskazania refundacyjne do leczenia spastyczności toksyną botulinową typu A ograniczone są do mózgowego porażenia dziecięcego (ICD-10 G80) w populacji pediatrycznej i po przebytych niedokrwiennym lub krwotocznym udarze mózgu (ICD-10 I61, I63, I69) w populacji dorosłych.

Rekomendacje interdyscyplinarnej grupy ekspertów (Sławek 2023), wskazują na zasadność stosowania toksyny botulinowej typu A (bez wskazania konkretnego leku) w leczeniu spastyczności umiarkowanej i ciężkiej (MAS  $\geq$  2) niezależnie od jej etiologii.

#### **Rekomendacja 1**

- Mimo relatywnie niewielkiej liczby prac i umiarkowanej jakości danych autorzy zalecają stosowanie BoNT-A w leczeniu spastyczności umiarkowanej i ciężkiej (MAS  $\geq$  2) u chorych na SM.
- Leczenie to pozwala na zmniejszenie spastyczności, poprawę w zakresie wykonywania czynności dnia codziennego, zmniejsza ból, a w wybranych przypadkach poprawia także chód i jest dobrze tolerowane.

### *Rekomendacja 2*

- *Niezależnie od umiarkowanej jakości metodologii przedstawionych badań, biorąc pod uwagę ich wyniki, ale także doświadczenie własne autorów, BoNT-A powinna być stosowana jako skuteczna i bezpieczna metoda leczenia ogniskowej lub wieloogniskowej spastyczności kończyn oraz jako metoda leczenia bólu towarzyszącego spastyczności u pacjentów po TBI i SCI.*
- *Leczenie to jest bezpieczne i dobrze tolerowane.*
- *Zaleca się stosowanie BoNT-A u chorych ze spastycznością umiarkowaną i ciężką (MAS  $\geq$  2).*

### *Rekomendacja 3*

- *Mimo umiarkowanej jakości metodologii badań w grupie chorych dorosłych z MPDz autorzy rekomendują*
- *stosowanie iniekcji BoNT-A jako kontynuacji dotychczasowego leczenia — szczególnie w tych przypadkach, w których chorzy odnoszą ciągle korzyść z tej terapii.*
- *W indywidualnych przypadkach można rozważyć także stosowanie BoNT-A de novo u dorosłych chorych ze spastycznością ogniskową/wieloogniskową o umiarkowanym/ciężkim nasileniu (MAS  $\geq$  2).*

### *Rekomendacja 4*

- *Aktualny przegląd systematyczny dowodów skuteczności BoNT-A w leczeniu spastyczności w przebiegu HSP (dziedziczna paraplegia spastyczna) wskazuje na istotne korzyści odnoszone przez chorych, choć wymaga badań prospektywnych o lepszej metodologicznie jakości.*
- *Ze względu na heterogenność objawów zalecane dawki oraz schematy podania należy dostosować indywidualnie.*
- *Leczenie powinno być stosowane u chorych z umiarkowaną lub ciężką spastycznością (MAS  $\geq$  2).*

### *Problem ekonomiczny*

*Zgodnie z najbardziej prawdopodobnym scenariuszem poszerzenie wskazań do stosowania leków zawierających toksynę botulinową typu A spowoduje wzrost wydatków płatnika publicznego o ok. 30% w stosunku do aktualnych nakładów, co przekłada się na wzrost wydatków o kilkanaście milionów złotych w perspektywie 3 lat.*

### *Główne argumenty decyzji*

- *Niezaspokojona potrzeba zdrowotna u pacjentów ze umiarkowaną lub ciężką spastycznością po przebytych urazie OUN, w przebiegu stwardnienia rozsianego, porażenia połowicznego lub paraplegii spastycznej*

- *Ograniczone dowody naukowe wskazują, że leczenie spastyczności lekami zawierającymi toksynę botulinową typu A jest bezpieczne i skuteczne niezależnie od jej przyczyny.*
- *Nie odnaleziono różnic w zakresie skuteczności i bezpieczeństwa pomiędzy lekami zawierającymi toksynę botulinową typu A*
- *Akceptowalne koszty dla płatnika publicznego*

#### **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 Opracowanie dotyczące oceny zasadności połączenia programów lekowych dotyczących leczenia spastyczności kończyn, tj. B.30 i B.57. oraz oceny zasadności finansowania leków zawierających toksynę botulinową typu A we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr: OT.422.1.34.2023 „Toksyna botulinowa typu A we wskazaniach: innych niż określone w ChPL”; data ukończenia: 25 sierpnia 2023 r.



Opinia Rady Przejrzystości  
nr 148/2023 z dnia 28 sierpnia 2023 roku  
o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej  
leczenia niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego  
dla mieszkańców Gminy Starachowice”

*Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej leczenia niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego dla mieszkańców Gminy Starachowice”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady oraz uwag zawartych w raporcie AOTMiT.*

**Uzasadnienie**

*Niepłodność powoduje poważne konsekwencje psychologiczne i ekonomiczne, zarówno na poziomie indywidualnym, jak i społecznym. Rekomendacje PTMR/PTG 2018 wskazują, że procedura zapłodnienia pozaustrojowego (IVF, ICSI) ma udowodnioną, najwyższą skuteczność spośród wszystkich metod wspomaganego rozrodu. Leczenie niepłodności w drodze zapłodnienia pozaustrojowego nie jest finansowane w ramach świadczeń gwarantowanych.*

*Okres realizacji ocenianego programu został wyznaczony na lata 2023-2026. Program zostanie sfinansowany ze środków budżetu gminy Starachowice.*

*Projekt zakłada dofinansowanie w wysokości do 80% kosztów maksymalnie 3 prób zapłodnienia pozaustrojowego dla każdej pary uczestniczącej w programie, nie więcej jednak niż do kwoty 5 000 zł na jedną procedurę zapłodnienia. Przy planowanym budżecie na realizację programu wynoszącym 375 000 zł przeprowadzić będzie można 75 takich procedur.*

*Zapłodnienia pozaustrojowe będzie realizowane z wykorzystaniem własnych gamet pary uczestniczącej w programie. Usługi związane z procedurą zapłodnienia pozaustrojowego z wykorzystaniem gamet od anonimowego dawcy, jeżeli nie mieszczą się w usługach przewidzianych do dofinansowania w ramach programu, będą finansowane przez uczestników programu.*

*Część biotechnologiczna programu obejmie: pobranie komórek jajowych; zapłodnienie pozaustrojowe metodą IVF lub ICSI oraz nadzór nad rozwojem zarodków; hodowlę zarodków; transfer zarodków do macicy; przygotowanie zarodków do przechowywania; kriokonserwację, przechowywanie zarodków.*

*Uczestnicy programu zostaną ponadto poinformowani o możliwości skorzystania z opcji zamrażania (witryfikacji) komórek jajowych.*

*Przechowywanie zarodków i oocytów oraz kriotransfery nie będą finansowane w ramach programu.*

*Realizator programu wybrany zostanie w drodze konkursu ofert. Projekt zakłada przeprowadzenie akcji informacyjnej, a także monitorowanie programu i jego ewaluację.*

*Uwagi Rady Przejrzystości:*

- Program powinien zawierać poprawnie sformułowane cele, mierniki efektywności oraz wskaźniki wykorzystywane podczas ewaluacji.*
- Należy doprecyzować kryteria włączenia do programu.*
- Konieczne jest dostosowanie postanowień dotyczących liczby zapładnianych komórek jajowych z brzmieniem ustawy o leczeniu niepłodności.*
- Projekt należy uzupełnić o zasady postępowania z kriokonserwowanymi zarodkami po upływie 20 lat ustawowego obowiązku przechowywania.*
- Liczba kriokonserwowanych zarodków powinna być monitorowana i uwzględniona w ewaluacji programu.*
- Przeniesienie na beneficjentów niektórych kosztów, np. związanych z przechowywaniem zamrożonych zarodków i oocytów, może ograniczyć dostęp do programu mniej zamożnym parom.*

#### **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.431.45.2023 „Program polityki zdrowotnej leczenia niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego dla mieszkańców Gminy Starachowice” realizowany przez Gminę Starachowice; data ukończenia: sierpień 2023 oraz Aneksu do raportów szczegółowych „Programy z zakresu diagnostyki i leczenia niepłodności – wspólne podstawy oceny”, czerwiec 2022 r.



Opinia Rady Przejrzystości  
nr 149/2023 z dnia 28 sierpnia 2023 roku  
o projekcie programu „Program profilaktyki cukrzycy typu 2  
dla mieszkańców Gminy Nowiny  
w wieku 45-64 lat na lata 2024-2028”

*Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki cukrzycy typu 2 dla mieszkańców Gminy Nowiny w wieku 45-64 lat na lata 2024-2028”.*

**Uzasadnienie**

*Przedmiotem oceny jest projekt programu polityki zdrowotnej zaplanowany do realizacji przez gminę Nowiny z zakresu diabetologii.*

*W ramach programu zaplanowano przeprowadzenie kwalifikującej wizyty pielęgniarskiej, badań przesiewowych, w tym: badania FPG (oznaczenie glikemii na czczo w osoczu krwi żyłnej), badania OGTT (doustny test obciążenia glukozą), konsultacji lekarskiej, dwóch porad dietetycznych (wraz z indywidualnym 14-dniowym jadłospisem), a także działań edukacyjnych.*

*Program ma być realizowany w latach 2024-2028. Planowane koszty całkowite programu wynoszą 122 400 zł (24 480 zł rocznie). Program finansowany będzie z budżetu gminy Nowiny.*

*W projekcie programu odniesiono się do sytuacji epidemiologicznej przedstawiając dane światowe, europejskie, ogólnopolskie i regionalne. Podkreślono, że „w Polsce zgodnie z danymi GUS, cukrzyca jest chorobą, z którą zmaga się ponad 3 mln osób, co przekłada się na rozpowszechnienie na poziomie 8,1%. Ponad 57% przypadków to chorzy w wieku powyżej 60 lat”.*

*W projekcie programu odniesiono się do aktualnych MPZ wskazując, że „wartość DALY w Polsce w 2019 r. dla cukrzycy wyniosła 0,49 mln (1,2 tys. na 100 tys. ludności)”. Podkreślono także, że w województwie świętokrzyskim cukrzyca znalazła się wśród pięciu problemów zdrowotnych odznaczających się najwyższymi wartościami wskaźnika DALY. Wskazano, że prognozy dla cukrzycy są niekorzystne, wartość wskaźnika chorobowości wzrośnie od 2019 r. do 2028 r. o 20,28%, a szacowany wzrost będzie trzecim największym wzrostem spośród wszystkich problemów zdrowotnych, po zaburzeniach depresyjnych i zakażeniach dolnych dróg oddechowych. Podkreślono także, że co istotne, województwo*



świętokrzyskie ma najwyższy w skali kraju udział czynników metabolicznych w zgonach (17% większy niż średnio dla Polski). Zaznaczono, że w województwie za utratę największej liczby lat przeżytych w zdrowiu i zgony, odpowiadają m.in. nieodpowiednie nawyki żywieniowe.

Głównym celem projektu programu jest „podniesienie lub utrzymanie wiedzy w zakresie profilaktyki pierwotnej i wtórnej cukrzycy typu 2, w tym czynników ryzyka jej powstawania, wczesnych objawów oraz powikłań, wśród 70% uczestników programu”. Cel główny odnosi się do poziomu wiedzy uczestników PPZ. Możliwy jest wzrost wiedzy w związku z wdrażanymi działaniami edukacyjnymi oraz pomiar tego wzrostu za pomocą zaplanowanych pre- i post-testów (pomiaru te zostały zaplanowane w projekcie). Należy jednak zaznaczyć, że nie wskazano uzasadnienia dla przyjętej wartości docelowej.

W treści projektu wskazano 1 cel szczegółowy. „zmniejszenie ryzyka rozwoju cukrzycy typu 2 lub jej powikłań w populacji docelowej poprzez obniżenie wartości wskaźnika BMI wśród 20% uczestników programu, będących odbiorcami działań profilaktycznych”. Cel szczegółowy jest możliwy do realizacji za pomocą zaplanowanych w ramach programu badań przesiewowych oraz działań profilaktycznych. Nie wskazano jednak uzasadnienia dla przyjętej wartości docelowej.

W projekcie programu zaproponowano 2 mierniki efektywności. Miernik nr 1 odnosi się do celu głównego. Miernik nr 2 odnosi się do celu szczegółowego.

Populację docelową stanowią mieszkańcy gminy Nowiny w wieku 45-64 lat z wyłączeniem osób, u których już wcześniej zdiagnozowano cukrzycę typu 2. Wnioskodawca podkreśla, że populację docelową działań profilaktycznych powinny stanowić osoby z grupy ryzyka wystąpienia cukrzycy typu 2. W projekcie programu wskazano, że zgodnie z danymi pozyskanymi z Banku Danych Lokalnych gminę Nowiny zamieszkuje ok. 1 058 kobiet oraz 1 110 mężczyzn w wieku 45-64 lat. Informacje przedstawione przez wnioskodawcę są zbliżone do danych zmieszczonych na stronie internetowej GUS. Ponadto w projekcie PPZ podkreślono, że populację docelową w wybranej grupie wiekowej, dotkniętą problemem nadwagi lub otyłości, szacuje się na ok. 455 kobiet oraz ok. 690 mężczyzn. Wskazano także, że kryteria kwalifikacji wykluczają udział w programie osób ze zdiagnozowaną już cukrzycą, w związku z czym ww. liczby pomniejszono o 8,1%. Zaznaczono, że opisaną populację, bez zdiagnozowanej cukrzycy typu 2, szacuje się na 420 kobiet oraz 635 mężczyzn, łącznie ok. 1 055 osób.

W części dot. interwencji oraz budżetu wskazano, że w związku z brakiem danych epidemiologicznych w tym obszarze, na potrzeby zaplanowania programu i oszacowania budżetu założono, że u każdego z uczestników zostanie wykonane pierwsze badanie FPG (100 osób), u połowy uczestników badanie to zostanie

powtórzone (ok. 50 osób), a połowa uczestników zostanie skierowana na badanie OGTT (ok. 50 osób). Z kolei konsultacje lekarskie i działania z zakresu profilaktyki wtórnej (dietetyczne) mają objąć osoby, u których zostanie zdiagnozowana cukrzyca lub stan przedcukrzycowy, tj. 24 osoby.

Kryteria włączenia i wyłączenia z programu zostały określone w odniesieniu do poszczególnych interwencji zaplanowanych w projekcie. W przypadku kwalifikującej wizyty pielęgniarskiej kryteria włączenia obejmują wiek (45-64 lat) oraz zamieszkiwanie na terenie gminy Nowiny.

Kryteria włączenia do etapu obejmującego konsultację lekarską, porady dietetyczne oraz działania edukacyjne to wiek (45-64 lat), zamieszkiwanie na terenie gminy Nowiny oraz diagnoza cukrzycy lub stanu przedcukrzycowego na etapie badań przesiewowych programu

Kryteria wyłączenia na poziomie poszczególnych etapów są jednakowe i obejmują: zdiagnozowaną uprzednio cukrzycę typu 2, przeciwwskazania zdrowotne do skorzystania z interwencji w programie (np. wskazania do pilnego zabiegu chirurgicznego, czynna choroba nowotworowa, choroba zakaźna, ciąża) oraz uczestniczenie w ciągu ostatnich 3 lat w programach profilaktycznych mających na celu zdiagnozowanie/wykluczenie występowania cukrzycy.

W ramach programu zaplanowano przeprowadzenie kwalifikującej wizyty pielęgniarskiej, badania FPG (oznaczenie glikemii na czczo w osoczu krwi żyłnej), badania OGTT (doustny test obciążenia glukozą), konsultacji lekarskiej, dwóch porad dietetycznych, a także działań edukacyjnych.

W PPZ zdawkowo odniesiono się do informacji nt. warunków dotyczących personelu, wyposażenia i warunków lokalowych.

Akcja informacyjna będzie prowadzona przez Urząd Gminy Nowiny w ramach współpracy z realizatorem oraz placówkami POZ, organizacjami pozarządowymi, a także z lokalnymi mediami (radio, prasa, media społecznościowe).

W ramach działań monitorujących przeprowadzona zostanie analiza „liczby osób, które zgłosiły się na kwalifikacyjną wizytę pielęgniarską”, „liczby osób, które zakwalifikowano do badań przesiewowych”, „liczby osób uczestniczących w II etapie programu, z podziałem na poszczególne interwencje” oraz „liczby osób, które zrezygnowały z udziału w programie na poszczególnych etapach jego trwania wraz z analizą przyczyn tych decyzji”.

Ocena jakości świadczeń zostanie przeprowadzona na podstawie „corocznej analizy wyników ankiety satysfakcji uczestników programu” oraz „bieżącej analizy pisemnych uwag dot. realizacji 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.431.46.2023 „Program profilaktyki cukrzycy typu 2 dla mieszkańców Gminy Nowiny w wieku 45-64 lat na lata 2024-2028” realizowany przez Gminę Nowiny; data ukończenia: sierpień 2023 oraz raportu nr OT.434.1.2021 „Program profilaktyki cukrzycy typu 2” ze stycznia 2021 r.