



BP.401.40.2023.AG

**Protokół nr 40/2023  
z posiedzenia Rady Przejrzystości  
w dniu 9 października 2023 roku**

Tomasz Pasierski otworzył posiedzenie o godzinie 10:03.

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

1. Dominik Gajewski
2. Anna Gręziak
3. Tomasz Hryniewiecki
4. Maciej Karaszewski
5. Dorota Kilańska
6. Marcin Lipowski
7. Adam Maciejczyk
8. Tomasz Pasierski
9. Jakub Pawlikowski
10. Monika Urbaniak

Proponowany porządek obrad:

1. Ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie opinii w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną rurioktokog alfa pegol we wskazaniu: zapobieganie krwawieniom u dzieci poniżej 12 r.ż. z hemofilią A (ICD-10 D 66) w ramach programu lekowego B.15.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie Sialanar (bromek glikopironium) we wskazaniu: leczenie objawowe ciężkiej postaci ślinotoku (przewlekłego patologicznego wydzielania śliny) u dzieci i młodzieży w wieku od 3 lat z mózgowym porażeniem dziecięcym.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Veltassa (patiromer calcium) we wskazaniu: leczenie hiperkaliemii w przebiegu przewlekłej choroby nerek u pacjentów stosujących RAASi.
5. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Profilaktyka i wczesne wykrywanie wad postawy, nadwagi i otyłości wśród dzieci klas III szkół podstawowych w mieście Ełku na lata 2023-2028”.
6. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program polityki zdrowotnej w zakresie wykrywania zaburzeń słuchu u dzieci uczęszczających do szkół i placówek z terenu Gminy Miejskiej Kraków”.
7. Zakończenie posiedzenia.

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

Żaden z pozostałych członków Rady nie zadeklarował konfliktu interesów.

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

**Ad 2.** Analityk Agencji podsumował najważniejsze informacje z raportu w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną ruriotokog alfa pegol we wskazaniu: zapobieganie krwawieniom u dzieci poniżej 12 r.ż. z hemofilią A (ICD-10 D 66) w ramach programu lekowego B.15.

Rada wysłuchała stanowiska przedstawiciela pacjentów.

Projekt opinii Rady przedstawił Marcin Lipowski.

W dyskusji uczestniczyli: Marcin Lipowski i Tomasz Pasierski.

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

**Ad 3.** Analityk Agencji streścił raport w sprawie oceny leku Sialanar (wniosek refundacyjny) we wskazaniu: leczenie objawowe ciężkiej postaci ślinotoku (przewlekłego patologicznego wydzielania śliny) u dzieci i młodzieży w wieku od 3 lat z mózgowym porażeniem dziecięcym.

Projekt stanowiska Rady przedstawiła Anna Gręziak.

Rada przeprowadziła dyskusję, w której głos zabrali: Tomasz Pasierski, Anna Gręziak i Monika Urbaniak.

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

**Ad 4.** Analityk Agencji omówił raport w sprawie oceny leku Veltassa (wniosek refundacyjny) we wskazaniu: leczenie hiperkaliemii w przebiegu przewlekłej choroby nerek u pacjentów stosujących RAASi.

We wstępnej dyskusji głos zabrali: Tomasz Pasierski, Jakub Pawlikowski, Tomasz Hryniewiecki i Maciej Karaszewski.

Projekt stanowiska Rady przedstawił Jakub Pawlikowski.

W dalszej części dyskusji udział wzięli: Jakub Pawlikowski i Tomasz Pasierski.

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

**Ad 5.** Analityk Agencji omówił program polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Profilaktyka i wczesne wykrywanie wad postawy, nadwagi i otyłości wśród dzieci klas III szkół podstawowych w mieście Ełku na lata 2023-2028”.

Projekt opinii Rady przedstawił Monika Urbaniak.

W dyskusji uczestniczyli: Dorota Kilańska i Tomasz Pasierski.

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

**Ad 6.** Analityk Agencji omówił program polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program polityki zdrowotnej w zakresie wykrywania zaburzeń słuchu u dzieci uczęszczających do szkół i placówek z terenu Gminy Miejskiej Kraków”.

Projekt opinii Rady przedstawił Dominik Gajewski.

W dyskusji udział wzięli: Dorota Kilańska, Maciej Karaszewski, Tomasz Pasierski i Dominik Gajewski.

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

**Ad 7.** Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 11:43.



## Opinia Rady Przejrzystości

nr 167/2023 z dnia 9 października 2023 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną rurioktokog alfa pegol w wybranych wskazaniach pozarejestacyjnych

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną rurioktokog alfa pegol we wskazaniu: zapobieganie krwawieniom u dzieci poniżej 12 r.ż. z hemofilią A (ICD-10 D 66) w ramach programu lekowego B.15.*

### Uzasadnienie

*Hemofilia A jest wrodzoną skazą krwotoczną spowodowaną zmniejszeniem aktywności czynnika VIII. W obrazie ciężkiej postaci choroby, w której aktywność czynnika VIII spada poniżej 1% normy, dominują samoistne krwawienia do stawów (z powikłaniem w postaci tzw. artropatii hemofilowej), krwawienia do mięśni, krwimocz, krwawienia z przewodu pokarmowego i wewnątrzczaszkowe.*

*Rurioktokog alfa pegol jest pegylowanym, rekombinowanym ludzkim czynnikiem VIII o wydłużonym okresie półtrwania. Rurioktokog alfa pegol to koniugat oktokoгу alfa z glikolem polietylenowym (PEG). Aktywność terapeutyczna rurioktokogu alfa pegol pochodzi od oktokoгу alfa, który został kowalencyjnie sprzężony z odczynnikiem PEG w celu wydłużenia okresu półtrwania w osoczu. Oktokog alfa, jako produkt Advate, dostępny jest w ramach programu B.15 w profilaktyce krwawień w całej populacji dzieci z hemofilią A. Obecnie w programie B.15 refundowane mogą być czynniki VIII rekombinowane: 1) o standardowym okresie półtrwania w postaci produktów Advate (octocog alfa), NovoEight (turoctocog alfa), Nuwiq (simoktokog alfa), ReFacto AF (morococog alfa) oraz 2) o wydłużonym okresie półtrwania w postaci produktów Adynovi (rurioctocog alfa pegol), Afstyła (lonococog alfa) i Elocta (efmorococog alfa). Według raportu refundacyjnego NFZ za styczeń–lipiec b.r. w omawianym programie lekowym stosowane były tylko dwa z ww. produktów leczniczych, tj. Advate (oktokog alfa) oraz NovoEight (turoktokog alfa).*

*Oceniana zmiana polega na zniesieniu limitu wiekowego ograniczającego dostęp do leku i dopuszczeniu stosowania rurioktokogu alfa pegol w całej populacji dzieci z hemofilią A objętych profilaktyką krwawień w ramach programu*

lekowego B.15. W opisie tego programu rurioktokog alfa pegol można stosować dopiero u dzieci od 12 r.ż., co jest zgodne z Charakterystyką Produktu Leczniczego oryginalnego Adynovi, jedyne dopuszczonego do obrotu w Polsce i UE zawierającego rurioktokog alfa pegol. Zatem zmiana w programie lekowym B.15., polegająca na umożliwieniu stosowania rurioktokogu alfa pegol u dzieci poniżej 12 r.ż. (tj. od 1. dnia życia) wykracza poza wskazanie rejestracyjne (tzw. możliwość stosowania leku off label). Produkt Adynovi został dopuszczony do obrotu przez EMA w dniu 8 stycznia 2018r.

Zlecenie MZ zostało przekazane na wniosek Konsultanta Krajowego w dziedzinie onkologii i hematologii dziecięcej. Ankietowani przez Agencję Eksperti kliniczni wyrazili pozytywną opinię na temat proponowanego zniesienia limitu wiekowego w populacji pediatrycznej dla rurioktokogu alfa pegol.

Nie odnaleziono wysokiej jakości badań z zakresu skuteczności i bezpieczeństwa stosowania wnioskowanej technologii w profilaktyce krwawień w całej populacji dzieci z hemofilią A, w tym badań bezpośrednio porównujących rurioktokog alfa pegol z obecnie stosowanymi w Polsce rekombinowanymi czynnikami VIII. Odnaleziono natomiast 3 prospektywne i 2 retrospektywne badania (otwarte, niekontrolowane, nierandomizowane, na małych grupach pacjentów), w których opisano obiecujące wyniki skuteczności i bezpieczeństwa rurioktokogu alfa pegol u dzieci poniżej 12 r.ż. z hemofilią A (Sidonio 2023, Chowdary 2020, Mullins 2017, Wu 2022, Aledort 2020).

Na stronie EMA opublikowano informacje dotyczące planu badań pediatrycznych (ang. Paediatric Investigation Plan, PIP), którym został objęty produkt leczniczy Adynovi. Plan obejmuje populację pacjentów pediatrycznych od urodzenia do 18 roku życia. Przewidywana data zakończenia planu tych badań to październik 2024 roku. W ramach planu ocenie poddanych zostanie 5 badań klinicznych.

W polskich wytycznych PTOiHD 2022 preparaty zawierające rekombinowany czynnik VIII o przedłużonym okresie półtrwania (EHL) są zalecane w profilaktyce krwawień u dzieci i młodzieży z hemofilią A. Wskazuje się na podobną skuteczność i bezpieczeństwo EHL oraz zmniejszoną częstość dawkowania czynnika VIII z 3 do 2 razy w tygodniu w porównaniu z lekami o standardowym okresie półtrwania (SHL). W wytycznych brytyjskich (BSH 2020) podkreślono, że produkty cz. VIII EHL należy stosować tylko wtedy, gdy zapewniają one wyraźną korzyść kliniczną w porównaniu z SHL.

Zgodnie z danymi NFZ w programie B.15., w którym leczone są dzieci z ciężką postacią hemofilii A, a który włączono w latach 2018-2022, leczonych jest rocznie od 319 do 362 pacjentów, co wiązało się z kosztami łącznymi na poziomie od 21,56 mln PLN do 31,88 mln PLN. W przypadku objęcia finansowaniem całej populacji pacjentów poniżej 12 r.ż. z ciężką hemofilią A produktem leczniczym

*Adynovi po cenie zaproponowanej przez Podmiot odpowiedzialny, nastąpi wzrost kosztów NFZ o [redacted] (przy uwzględnieniu liczebności populacji wg danych MZ) oraz o [redacted] (przy liczebności populacji wg danych NFZ).*

*Należy zaznaczyć, że obecnie cz. VIII do programu lekowego B.15. są nabywane w ramach przetargów organizowanych przez Zakład Zamówień Publicznych przy MZ. Zatem, aby produkt leczniczy zawierający rurioktokog alfa pegol mógł być finansowany w omawianej populacji podmiot odpowiedzialny musiałby złożyć najkorzystniejszą ofertę i wygrać przetarg. Biorąc pod uwagę powyższe, wpływ na budżet płatnika publicznego finansowania leku, zawierającego rurioktokog alfa pegol stosowany w omawianej populacji dziecięcej, powinien być neutralny lub powodować oszczędności z perspektywy NFZ.*

*Nie odnaleziono żadnej rekomendacji refundacyjnej dotyczącej omawianej technologii lekowej.*

**Główne argumenty decyzji:**

- pozytywne opinie Ekspertów klinicznych i zgodność z najnowszymi rekomendacjami towarzystw naukowych,*
- neutralny lub powodujący oszczędności z perspektywy NFZ wpływ na wydatki 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 opracowania na potrzeby oceny zasadności objęcia refundacją leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr: OT.422.1.37.2023 „Rurioktokog alfa pegol we wskazaniu: zapobieganie krwawieniom u dzieci poniżej 12 r.ż. z hemofilią A (ICD-10 D 66) w ramach programu lekowego B.15”; data ukończenia: 05.10.2023 r.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

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

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem Takeda Pharma 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:** Takeda Pharma Sp. z o.o.



Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 117/2023 z dnia 9 października 2023 roku  
w sprawie oceny leku Sialanar (bromek glikopironium) we wskazaniu:  
leczenie objawowe ciężkiej postaci ślinotoku (przewlekłego  
patologicznego wydzielania śliny) u dzieci i młodzieży w wieku  
od 3 lat z mózgowym porażeniem dziecięcym

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Sialanar (bromek glikopironium), 320 µg/ml, roztwór doustny, 250 ml, GTIN: 05060506950136, we wskazaniu: leczenie objawowe ciężkiej postaci ślinotoku (przewlekłego patologicznego wydzielania śliny) u dzieci i młodzieży w wieku od 3 lat z mózgowym porażeniem dziecięcym jako leku dostępnego w aptece na receptę, w ramach nowej grupy limitowej i wydawanie go za odpłatnością ryczałtową.*

**Uzasadnienie**

Problem zdrowotny

*Ślinotok (hipersalacja, ang. sialorrhoea) to nadmierny wyciek śliny z ust spowodowany zaburzeniami połykania śliny. Ma miejsce wskutek ponadprzeciętnego pobudzenia układu przywspółczulnego. U podstaw choroby mogą znajdować się niedostateczna kontrola mięśniowa czy zaburzenie sensomotorycznej kontroli procesu połykania. Ślinotok nie jest stanem bezpośrednio zagrażającym życiu jednak wiąże się z szeregiem problemów fizycznych, społecznych i psychologicznych. zarówno dla chorego jak i dla najbliższej rodziny. Choroba najczęściej występuje u dzieci z mózgowym porażeniem dziecięcym (MPD) - 10%-25% i innymi zaburzeniami neurorozwojowymi. Częstość występowania mózgowego porażenia dziecięcego waha się 1,5–3 na 1000 żywo urodzonych dzieci i zależy od statusu ekonomicznego kraju. Współczynnik chorobowości ciężkiej postaci ślinotoku wśród dzieci z porażeniem mózgowym wynosi 33% (Ciężki ślinotok - DSFS 7-9; umiarkowany ślinotok - DSFS 4-6; łagodny ślinotok/brak ślinotoku - DSFS 2-3). Wg Konsultanta Krajowego ds. neurologii dziecięcej co roku rodzi się ok. 2/1000 dzieci, u których rozpoznaje się MPD. Populacja Polski w wieku 3-17 lat to 5,8 mln osób, stąd szacuje się, że MPD występuje u około 12 000 chorych. Patologiczny ślinotok występuje u ok. 1/3 chorych z MPD tj. ok. 2-4 tys.*



### Problem decyzyjny

Dotyczy objęcia refundacją produktu leczniczego Sialanar (bromek glikopironium) - 320 µg/ml, roztwór doustny, butelka 250 ml - we wskazaniu: leczenie objawowe ciężkiej postaci ślinotoku (przewlekłego patologicznego wydzielania śliny) u dzieci i młodzieży w wieku od 3 lat z mózgowym porażeniem dziecięcym, jako leku dostępnego w aptece na receptę, w ramach nowej grupy limitowej i wydawania go za odpłatnością ryczałtową.

Glikopironium to lek przeciwmuskarynowy będący czwartorzędowym związkiem amoniowym, którego działanie obwodowe jest podobne do działania atropiny. Leki przeciwmuskarynowe są kompetycyjnymi inhibitorami działania acetylocholiny w miejscach wiązania receptorów muskarynowych narządów efektorowych autonomicznego układu nerwowego unerwionych przez układ przywspółczulny (zazwojowe neurony cholinergiczne). Ponadto leki te hamują działanie acetylocholiny w mięśniach gładkich bez unerwienia cholinergicznego.

### Dowody naukowe

Ze względu na brak badań dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa produktu leczniczego Sialanar wnioskodawca w ramach AKL przedstawił badania, w których zastosowano produkt leczniczy Cuvposa (ta sama substancja czynna: GLI). Wyniki badania bezpośrednio przedstawiającego skuteczność i bezpieczeństwo dla produktu leczniczego Sialanar – badania SALIVA nie zostały jeszcze opublikowane.

Do przeglądu systematycznego wnioskodawcy włączono 3 randomizowane badania kliniczne, w tym 1 badanie porównujące GLI z HIO (hioscyna) oraz 2 badania porównujące GLI (bromek glikopironium) z PLC. Wyniki porównań przeprowadzonych w badaniach włączonych do analizy klinicznej wskazują na przewagę skuteczności bromku glikopironium względem braku leczenia oraz względem początkowych wartości w badaniach jednoramiennych. Informacje zawarte w przeglądach systematycznych włączonych do AKL wnioskodawcy You 2012 oraz Sridharan 2018 świadczą o korzyści stosowania GLI u pacjentów ze ślinotokiem (we włączonych do przeglądu badaniach widoczna była redukcja ślinotoku po zastosowaniu GLI). Kluczowe badania w analizie cechują się krótkim okresem obserwacji. Jednak zgodnie z ChPL Sialanar bromek glikopironium zalecany jest do stosowania przez krótki okres czasu. W analizie przedstawiono również badania dla dłuższego okresu obserwacji, tj. 24-tygodniowy okres obserwacji w badaniu Zeller 2012b i 14,3 miesięczny okres obserwacji w obserwacyjnym badaniu Zanon 2021.

Według ChPL Sialanar do bardzo często występujących działań niepożądanych występujących po leczeniu GLI należały: zaburzenia psychiczne: drażliwość; zaburzenia serca - zaczerwienienie skóry; zaburzenia układu oddechowego, klatki piersiowej i śródpiersia; niedrożność nosa, zmniejszenie ilości wydzieliny oskrzelowej, zaburzenia żołądka i jelit: suchość błony śluzowej jamy ustnej,

zaparcia, biegunka, wymioty oraz zaburzenia nerek i dróg moczowych: zatrzymanie moczu.

Wg EMA EPAR 2016 produkt leczniczy Sialanar umożliwia dużo dokładniejsze dostosowanie dawki, co ma kluczowe znaczenie w minimalizowaniu ryzyka wystąpienia działań niepożądanych związanych z antycholinergicznymi właściwościami leku.

Zdarzenia niepożądane wśród pacjentów stosujących GLI raportowano u 63,2% w badaniu Parr 2017, 100% w badaniu Zeller 2012a, 69,4% w badaniu Mier 2000 oraz u 89,1% w badaniu Zeller 2012b. W żadnym z przedstawionych badań nie odnotowano zgonów.

### Problem ekonomiczny

Oszacowany ICUR dla porównania GLI vs PLC wyniósł [redacted] z perspektywy NFZ i [redacted] z perspektywy wspólnej. Wartości te znajdują się tuż poniżej progu opłacalności, o którym mowa w ustawie o refundacji.

Największe niepewności związane z AE wnioskodawcy wynikają z ograniczeń analizy klinicznej, tj. dostępnych danych dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa stosowania GLI we wnioskowanej populacji. W ChPL Sialanar podano, że bezpieczeństwo stosowania bromku glikopironium zostało uwzględnione jedynie w badaniach o okresie leczenia nie dłuższym niż 24-tygodniowy. Do przerwania leczenia dochodzi w przypadku wystąpienia ciężkich działań niepożądanych lub po 24. tygodniu leczenia u chorych, którzy nie odpowiadają na leczenie (od początku leczenia przebywają w stanie ciężkiego ślinotoku). Ze względu na ograniczone dostępne dane dotyczące bezpieczeństwa długotrwałego stosowania oraz niejasności związane z potencjalnym ryzykiem rakotwórczości, całkowity czas leczenia powinien być jak najkrótszy. W analizie ekonomicznej założono, że chory przestaje stosować bromek glikopironium po co najmniej 8 tygodniach od rozpoczęcia stosowania, jeśli uzyskał poprawę w stopniu ciężkości ślinotoku (z wyniku 7-9 do wyniku poniżej 7 w skali DSFS), a więc gdy stan ślinotoku przestał być ciężki.

### Główne argumenty decyzji

- istnienie dużej, niezaspokojonej potrzeby zdrowotnej,
- zgodnie z obwieszczeniem Ministra Zdrowia z dnia 30 sierpnia 2023 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, obecnie nie ma finansowanych leków ze środków publicznych w leczeniu ślinotoku u dzieci i młodzieży w wieku od 3 lat z mózgowym porażeniem dziecięcym,

Uwaga Rady

*Z uwagi na znaczny wpływ na budżet płatnika, Rada rekomenduje obniżenie ceny produktu.*

**Tryb wydania stanowiska**

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2022 r., poz. 2555 z późn. zm.), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2022 r., poz. 2561 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OT.423.0.17.2023 „Wniosek o objęcie refundacją leku Sialanar (bromek glikopironium) we wskazaniu: leczenie objawowe ciężkiej postaci ślinotoku (przewlekłego patologicznego wydzielania śliny) u dzieci i młodzieży w wieku od 3 lat z mózgowym porażeniem dziecięcym”; data ukończenia opracowania 28.09.2023 r.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Proveca Pharma Ltd).

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem Proveca Pharma Ltd 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:** Proveca Pharma Ltd



Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 118/2023 z dnia 9 października 2023 roku  
w sprawie oceny leku Veltassa (patiromer wapniowy) we wskazaniu:  
patiromer stosowany w leczeniu hiperkaliemii w przebiegu  
przewlekłej choroby nerek u pacjentów stosujących RAASI

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Veltassa (patiromer calcium), proszek do sporządzania zawiesiny doustnej, 8,4 g, 30 sasz., GTIN: 07640166811459, we wskazaniu: patiromer stosowany w leczeniu hiperkaliemii w przebiegu przewlekłej choroby nerek u pacjentów stosujących RAASI, jako leku dostępnego w aptece na receptę, w ramach nowej grupy limitowej i wydawanie go za odpłatnością ryczałtową, pod warunkiem obniżenia ceny i ograniczenia populacji do chorych z niewydolnością serca.*

**Uzasadnienie**

Problem decyzyjny

*Patiromer to niewchłanialny polimer ze zdolnością wymiany kationów, który zwiększa wydalanie potasu poprzez wiązanie go w świetle przewodu pokarmowego, co powoduje zmniejszenie stężenia potasu w surowicy. Patiromer stosowany w leczeniu hiperkaliemii w przebiegu przewlekłej choroby nerek. Wnioskowane wskazanie jest zawężone względem wskazania zarejestrowanego do hiperkaliemii w przebiegu przewlekłej choroby nerek u pacjentów stosujących RAASI (inhibitory układu renina-angiotensyna-aldosteron).*

*Produkt leczniczy Veltassa był przedmiotem oceny Agencji w 2021 r. w ramach wykazu technologii lekowych o wysokiej wartości klinicznej (TLK) we wskazaniu: hiperkaliemia u osób dorosłych. Rada przejrzystości uznała produkt leczniczy Veltassa za technologię lekową o wysokiej wartości klinicznej.*

Dowody naukowe

*W badaniu AMBER w grupie przyjmującej patiromer + spironolakton w porównaniu do grupy przyjmującej placebo + spironolakton zaobserwowano statystycznie istotny wyższy odsetek pacjentów nadal przyjmujących spironolakton oraz pacjentów z poziomem potasu w surowicy  $<5,5$  mEq/l. W badaniu OPAL-HK w grupie przyjmującej patiromer w porównaniu do grupy przyjmującej placebo zaobserwowano statystycznie istotny niższy odsetek pacjentów wymagający interwencji w związku z nawrotem hiperkaliemii.*

Ponadto zaobserwowano wyższy odsetek pacjentów nadal otrzymujący RAASi pod koniec fazy randomizowanej. W badaniu PEARL-HF w grupie przyjmującej patiromer w porównaniu do grupy przyjmującej placebo zaobserwowano statystycznie istotną niższą częstość występowania hiperkaliemii. W opracowaniach wtórnych podkreśla się, że badania kliniczne monitorujące stosowanie patiromeru wykazały klinicznie istotne zmniejszenie stężenia potasu i dobrą tolerancję leczenia oraz ograniczenie dyskontynuacji RAASi.

Głównym ograniczeniem analizy wnioskodawcy jest fakt, że włączone badania dotyczą niejednorodnej populacji pacjentów, u których hiperkaliemia wystąpiła w przebiegu różnych chorób, a ponadto w badaniach stosowano różne dawki patiromeru i większość badań klinicznych ma krótki okres obserwacji.

Profil bezpieczeństwa leku jest akceptowalny. W badaniach AMBER, OPAL-HK i DIAMOND nie zaobserwowano istotnych statystycznie różnic w częstości występowania zdarzeń niepożądanych ogółem. Jedynie w badaniu PEARL-HF w grupie przyjmującej patiromer odsetek zdarzeń niepożądanych był statystycznie istotnie wyższy niż w grupie przyjmującej placebo (54% vs 31%). W badaniu PEARL-HF w grupie przyjmującej patiromer odsetek żołądkowo-jelitowych zdarzeń niepożądanych był statystycznie istotnie wyższy niż w grupie przyjmującej placebo (21% vs 6%, OR(95%CI): 4,18 (1,10; 15,83)). W badaniu AMBER w grupie z patiromerem zaobserwowano statystycznie istotny niższy odsetek pacjentów, u których wystąpiły zdarzenia niepożądane prowadzące do przerwania leczenia (7% vs 14%, OR (95%CI): 0,44 (0,20; 0,97)) oraz niższy odsetek pacjentów, u których wystąpiła hiperkaliemia prowadząca do przerwania leczenia (1% vs 7%, OR (95%CI): 0,17 (0,04; 0,79)).

#### Problem ekonomiczny

Wg oszacowań wnioskodawcy stosowanie produktu Veltassa w miejsce terapii standardowej jest droższe i bardziej skuteczne. Objęcie refundacją produktu leczniczego Veltassa w populacji wnioskowanej spowoduje zwiększenie wydatków z budżetu płatnika publicznego.

Istnieje niepewność co do wysokości dawki patiromeru przyjętej w analizie ekonomicznej wnioskodawcy (8,4 g dziennie), ponieważ w badaniu OPAL HK, którego dane kliniczne wykorzystano do modelowania skuteczności wnioskowanej terapii, większość pacjentów (62%), stosowała podwyższoną dawkę patiromeru, tj. 16,8 g/dzień (8,4 g dwa razy dziennie). Przyjęcie w modelu wyższego dawkowania u części modelowanej populacji powoduje wzrost ICUR. Ponadto w analizie wnioskodawcy nie przedstawiono uzasadnienia zawężenia populacji docelowej do pacjentów z przewlekłą chorobą nerek w stadium 3b-5, a wniosek refundacyjny dotyczy pacjentów z hiperkaliemią w przebiegu PChN we wszystkich stadiach.

*Odnaleziono 10 rekomendacji refundacyjnych dotyczących stosowania produktu leczniczego Veltassa we wnioskowanym wskazaniu: 2 pozytywne (PBAC 2023 i HAS 2022), 4 pozytywne warunkowo (SMC 2021, CADTH 2021, NICE 2020 i ZN 2019) oraz 4 negatywne (w tym 3 rekomendacje PBAC z lat 2019, 2020 i 2022 oraz rekomendację NCPE 2019). W uzasadnieniu pozytywnych rekomendacji podkreślono fakt udostępnienia dodatkowej opcji leczenia dla pacjentów z hiperkaliemią (HAS 2022) oraz zastosowanie obniżki ceny leku (PBAC 2023). W warunkowo pozytywnych rekomendacjach zawężano wnioskowaną populację, a zalecenia uzależniano od obniżenia ceny leku. W negatywnych rekomendacjach wskazywano na brak dowodów długoterminowej skuteczności patiromeru oraz wysoki koszt leku (PBAC 2019-2022). Terapia wnioskowanym produktem leczniczym jest refundowana w kilkunastu krajach UE i EFTA.*

### Główne argumenty decyzji

- *skuteczność i bezpieczeństwo technologii,*
- *efektywność kosztowa,*
- *niepewność oszacowań ekonomicznych powinna stanowić przesłankę do obniżenia ceny leku i zawężenia populacji do chorych z niewydolnością serca*

### **Tryb wydania stanowiska**

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2022 r., poz. 2555 z późn. zm.), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2022 r., poz. 2561 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OT.423.0.18.2023 „Wniosek o objęcie refundacją leku Veltassa (patiromer wapniowy) we wskazaniu: patiromer stosowany w leczeniu hiperkaliemii w przebiegu przewlekłej choroby nerek u pacjentów stosujących RAASI”; data ukończenia: 28.09.2023 r.



Opinia Rady Przejrzystości  
nr 168/2023 z dnia 9 października 2023 roku  
o projekcie „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania wad postawy, nadwagi i otyłości wśród dzieci klas III szkół podstawowych w mieście Ełku na lata 2023-2028”

*Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje projekt „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania wad postawy, nadwagi i otyłości wśród dzieci klas III szkół podstawowych w mieście Ełku na lata 2023-2028” realizowany przez: Miasto Ełk.*

**Uzasadnienie**

*Przedmiotem oceny jest projekt programu polityki zdrowotnej zaplanowany do realizacji przez gminę Ełk. Populację docelową programu stanowią uczniowie klas III szkół podstawowych w Ełku w zakresie badań przesiewowych oraz ich rodzice/opiekunowie prawni w zakresie działań edukacyjnych. Projekt zakłada przeprowadzenie działań informacyjno-edukacyjnych, kwalifikacyjnych i diagnostycznych (w tym pomiary antropometryczne), konsultacji lekarskich, konsultacji dietetycznych oraz ćwiczeń grupowych, a także konsultacji kontrolnych.*

*Program ma być realizowany w latach 2023-2028. Planowane koszty całkowite zostały oszacowane na 1 849 472 zł (rok szkolny 2023/2024 – 267 624 zł, rok szkolny 2024/2025 – 316 341 zł, rok szkolny 2025/2026 – 373 872 zł, rok szkolny 2026/2027 – 421 125 zł, rok szkolny 2027/2028 – 470 510 zł). Program finansowany będzie z budżetu miasta Ełk.*

*PPZ dotyczy istotnych problemów zdrowotnych, jakimi są wady postawy oraz nadwaga i otyłość wśród dzieci. Wnioskodawca przedstawił informacje z zakresu obu problemów zdrowotnych oraz sposoby ich zwalczania. Zwrócił uwagę, że „wady postawy wieku rozwojowego stanowią poważny problem społeczny jak i cywilizacyjny. Szybki rozwój technologii ułatwiających życie pociąga za sobą coraz większą automatyzację życia codziennego człowieka, ograniczając tym samym jego aktywność ruchową, a w konsekwencji tego prowadzi do siedzącego trybu życia”. Podkreślił też, że „ogromne znaczenie na zwiększający się problem zdrowotny miało ogłoszenie w roku 2020 stanu epidemiologicznego w kraju z powodu wirusa COVID-19. Dzieci zostały pozbawione możliwości uczestnictwa*



w zajęciach sportowych, rekreacyjnych, plenerowych. Znacząco spadła aktywność ruchowa dzieci i młodzieży, problem nasilił się po wprowadzeniu nauki zdalnej, która w dużej mierze przyczyniła się do nasilenia problemu nadmiernego przeciążenia narządu ruchu w pozycji siedzącej”. Odnosząc się do problemu nadwagi i otyłości u dzieci, wnioskodawca zauważył, że epidemia COVID-19 stanowiła też poważny problem ze względu na „ograniczenie aktywności fizycznej na skutek zakazu wychodzenia z domu, zamknięcie ośrodków sportowych, basenów, terenów rekreacyjnych miały również istotny wpływ na pojawienie się coraz większej grupy dzieci z nadwagą”.

Celem głównym programu jest „poprawa stanu zdrowia dzieci poprzez zorganizowanie interwencji z zakresu profilaktyki wczesnej i pierwotnej ukierunkowanej na zmniejszenie występowania nadwagi, otyłości oraz nabytych wad postawy wśród dzieci”. Należy zaznaczyć, że cel główny powinien być wyraźnie zdefiniowany i precyzyjnie (w odniesieniu do planowanego czasu) wytyczony, a jego osiągnięcie powinno stanowić potwierdzenie skuteczności zaplanowanych działań. Zaproponowany cel został sformułowany nieprawidłowo, w sposób zbyt ogólny. W kontekście poprawy stanu zdrowia należy podkreślić, że w projekcie nie wskazano opisu narzędzi lub skal, które zostaną wykorzystane do pomiaru tego parametru przed i po interwencji. W związku z powyższym nie będzie możliwe obiektywne wykazanie poprawy w tym zakresie. Ponadto na stan zdrowia może wpływać wiele innych czynników niezwiązanych z realizacją PPZ.

W treści projektu wskazano również 8 celów szczegółowych. Cele nr 1-3 oraz 7 zostały sformułowane nieprawidłowo, w formie działania. W celach szczegółowych nr 4 i 5 dot. wzrostu wiedzy nie przyjęto wartości docelowej do jakiej należy dążyć, zatem nie zaproponowano wyniku post-testu oznaczającego zadowalające zwiększenie poziomu wiedzy (np. 95% poprawnych odpowiedzi lub wzrost punktacji o 30%). Cel szczegółowy nr 6 nie odnosi się do efektu zdrowotnego.

W projekcie programu zaproponowano 19 mierników efektywności. Wskaźnik nr 1 został sformułowany nieprawidłowo. Miernik nr 2 odnosi się do 4 celu szczegółowego. Mierniki nr 3, 4, 10, 11, 13-16 nie odnoszą się do celów programu, natomiast mogą zostać wykorzystane podczas ewaluacji. Wskaźniki nr 5 i 17-19 nie spełniają funkcji mierników efektywności, natomiast mogą zostać wykorzystane podczas monitorowania. Wskaźniki nr 6-9 i 12 zostały sformułowane nieprawidłowo, w postaci działania. Co więcej, brakuje miernika odnoszącego do celu szczegółowego nr 5. Warto w tym miejscu zaznaczyć, że w jednym z pozytywnie ocenionych przez Prezesa AOTMiT PPZ z zakresu profilaktyki nadwagi i otyłości u dzieci zaproponowano prawidłowo sformułowany miernik efektywności związany z edukacją, zdefiniowany jako

„liczba wyników co najmniej dobrych (min 75% pozytywnych odpowiedzi) dla post testów w porównaniu z pre-testami dotyczącymi wiedzy dzieci z zakresu znaczenia prawidłowej postawy ciała, czynników sprzyjających powstawaniu wad postawy oraz możliwości ich eliminowania, znaczenia aktywności fizycznej oraz zasad prawidłowego żywienia”.

Populację docelową programu stanowić będą uczniowie klas III szkół podstawowych w Ełku w zakresie badań przesiewowych oraz ich rodzice/opiekunowie prawni w zakresie działań edukacyjnych. W projekcie wskazano na 5-letni okres realizacji PPZ, tj. rok szkolny 2023/2024 – 662 uczniów (26 klas), rok szkolny 2024/2025 – 667 uczniów (26 klas), rok szkolny 2025/2026 – 728 uczniów (27 klas), rok szkolny 2026/2027 – 685 uczniów (25 klas) oraz rok szkolny 2027/2028 – 685 uczniów (25 klas). W czasie trwania 5-letniego PPZ, programem zostanie objęte 3 427 osób w zakresie konsultacji kwalifikacyjnej. Spotkania informacyjno-edukacyjne z rodzicami/opiekunami prawnymi dzieci zostały zaplanowane dla każdej klasy w poszczególnych latach trwania PPZ, tj. rok szkolny 2023/2024 – 26 spotkań, rok szkolny 2024/2025 – 26 spotkań, rok szkolny 2025/2026 – 27 spotkań, rok szkolny 2026/2027 – 25 spotkań oraz rok szkolny 2027/2028 – 25 spotkań. W ramach kolejnego etapu, konsultacją lekarską zostanie objęte 40 osób rocznie, zdjęcie RTG zostało przewidziane dla 70 osób rocznie, konsultacja dietetyczna dla 100 osób rocznie, a dieta – dla 40 osób rocznie. Z kolei ćwiczenia grupowe zostały przewidziane dla 275 osób w 1 roku realizacji PPZ, 277 osób w 2 roku realizacji PPZ, 303 osób w 3 roku realizacji PPZ oraz po 285 osób w przypadku 4 i 5 roku realizacji PPZ. Z kolei konsultacje kontrolne w projekcie zostały zaplanowane dla takiej samej liczby osób co w przypadku ćwiczeń grupowych.

Kryteria włączenia do programu stanowią: uczęszczanie do 3 klasy szkoły podstawowej w Ełku oraz wyrażenie pisemnej zgody rodziców/opiekunów prawnych dziecka na udział w programie. Kryterium wyłączenia z programu będzie obejmowanie dziecka w danym roku terapią w ramach NFZ.

W projekcie programu zaplanowano działania informacyjno-edukacyjne, działania kwalifikacyjne i diagnostyczne (w tym pomiary antropometryczne), konsultacje lekarskie, konsultacje dietetyczne oraz ćwiczenia grupowe, a także konsultacje kontrolne.

Na badania przesiewowe składać się będzie indywidualna konsultacja z fizjoterapeutą, ocena postawy ciała wg opracowanej karty badań, pomiar wagi ciała i wzrostu oraz podoskopowe badanie stóp. Wnioskodawca zaznaczył, że badania zostaną przeprowadzone na indywidualnych spotkaniach z fizjoterapeutą, na których będzie obecne dziecko oraz rodzic/opiekun prawny. Podkreślono także, że badanie zostanie przeprowadzone z zachowaniem prawa do intymności.

*Ocena zgłaszalności do programu prowadzona będzie na podstawie okresowych sprawozdań oraz całościowo po zakończeniu programu. Ocena jakości świadczeń w programie będzie polegać na kwartalnej lub corocznej analizie wyników ankiet satysfakcji uczestnika.*

#### Uwagi Rady

- *cel główny powinien być wyraźnie zdefiniowany i precyzyjnie wytyczony. Zaproponowany cel został sformułowany nieprawidłowo, w sposób zbyt ogólny,*
- *większość celów szczegółowych została sformułowana nieprawidłowo, w formie działania. W przypadku celów dot. wzrostu wiedzy nie przyjęto wartości docelowej do jakiej należy dążyć,*
- *większość mierników efektywności została zdefiniowana błędnie (w formie działania, nie spełniają funkcji mierników efektywności),*
- *nie przedstawiono szczegółów dot. realizacji interwencji,*
- *nie odniesiono się szczegółowo do planowanych zaleceń w zakresie modyfikacji diety,*
- *brak załączenia wzoru ankiety satysfakcji uczestnika,*
- *nie uwzględniono przeprowadzenia pre- i post-testu pozwalającego na weryfikację poziomu wiedzy*

#### **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.431.60.2023 „ Program profilaktyki i wczesnego wykrywania wad postawy, nadwagi i otyłości wśród dzieci klas III szkół podstawowych w mieście Ełku na lata 2023-2028” realizowany przez: Miasto Ełk; data ukończenia raportu październik 2023; oraz Aneksów do raportów szczegółowych nr: OT.423.2.2018 „Profilaktyka nadwagi oraz otyłości wśród dzieci i młodzieży w ramach programów polityki zdrowotnej” z kwietnia 2019 roku [Za1 1], zwanym dalej Raportem oraz z Aneksem „Programy profilaktyki i korekcji wad postawy u dzieci – wspólne podstawy oceny” z marca 2018 roku [Za1 2].



Opinia Rady Przejrzystości  
nr 169/2023 z dnia 9 października 2023 roku  
o projekcie „Program polityki zdrowotnej w zakresie wykrywania  
zaburzeń słuchu u dzieci uczęszczających do szkół i placówek  
z terenu Gminy Miejskiej Kraków”

*Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej w zakresie wykrywania zaburzeń słuchu u dzieci uczęszczających do szkół i placówek z terenu Gminy Miejskiej Kraków”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.*

**Uzasadnienie**

*Programu polityki zdrowotnej zaplanowany do realizacji przez gminę miejską Kraków, zakłada przeprowadzenie badań przesiewowych w kierunku wad słuchu w populacji uczniów klas I szkół podstawowych, a także działań edukacyjnych dla ich rodziców/opiekunów prawnych. Program zaplanowano na lata 2023-2026. Całkowity koszt PPZ został oszacowany na 2 059 766 zł (ok. 686 589 zł rocznie). Program ma zostać sfinansowany z budżetu gminy miejskiej Kraków oraz w ramach dofinansowania NFZ.*

*W projekcie przedstawiono informacje dot. występowania wad słuchu. Odniesiono się do danych światowych, ogólnopolskich oraz regionalnych.*

*Głównym założeniem projektu programu jest „zwiększenie o 8% skuteczności wczesnego wykrywania zaburzeń słuchu w populacji uczniów klas I uczęszczających do szkół podstawowych z terenu Gminy Miejskiej Kraków, w latach 2023-2026”.*

*Wskazano również 3 cele szczegółowe. Cele szczegółowe nr 1 i 2 odnoszą się do wzrostu 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 w przypadku dzieci (pomiar ten został uwzględniony w projekcie, jednak do projektu nie dołączono wzoru testu). W projekcie nie zaplanowano pre- i post-testów dla rodziców/opiekunów prawnych (do projektu załączono jedynie wzór ankiety satysfakcji dla*

rodziców/opiekunów prawnych, która zawiera dwa pytania dotyczące oceny poziomu wiedzy mające charakter wyłączne deklaracyjny). Wnioskodawca nie oszacował także poziomu zdawalności takiego testu (zarówno dla dzieci jak i dla rodziców/opiekunów prawnych), a więc nie jest jasne, jaki jego wynik będzie uznawany za istotną poprawę poziomu wiedzy uczestnika programu. Warto podkreślić, że prawidłowo zaplanowana akcja edukacyjna powinna zakończyć się wzrostem lub utrzymaniem wysokiego poziomu wiedzy u wszystkich osób uczestniczących w programie. Należy przy tym zdefiniować co oznacza wysoki poziom wiedzy (np. min. 95% poprawnych odpowiedzi w pre-teście). Prawidłowe byłoby również zdefiniowanie pożądanej wartości wzrostu wiedzy uczestników (np. wzrost o 30% w post-teście w porównaniu z pre-testem). Cel szczegółowy nr 3 sformułowany jako zwiększenie dostępności do badań przesiewowych słuchu, nie odnosi się do efektu zdrowotnego, ponieważ samo zwiększenie dostępu do badań przesiewowych, nie musi przełożyć się na liczbę dzieci, u których nastąpi poprawa stanu zdrowia.

Zaproponowano 4 mierniki efektywności. Miernik nr 1 odnosi się do celu głównego. Miernik nr 2 odnosi się do celu szczegółowego nr 1 dot. wzrostu poziomu wiedzy uczniów. Miernik nr 3 odnosi się do celu szczegółowego nr 2 dot. wzrostu poziomu wiedzy rodziców/opiekunów prawnych. Miernik nr 4 nie spełnia funkcji miernika efektywności, natomiast może zostać wykorzystany podczas monitorowania.

Kryteria włączenia do programu to: pisemna zgoda rodzica/opiekuna na udział w programie, zamieszkiwanie na terenie gminy miejskiej Kraków, status ucznia klasy I szkoły podstawowej. Z kolei w przypadku działań edukacyjnych kryterium włączenia to pozostawanie rodzicem/opiekunem prawnym uczniów szkół podstawowych z terenu gminy miejskiej Kraków.

Kryteria wyłączenia z programu stanowią brak pisemnej zgody rodzica/opiekuna prawnego, pisemna rezygnacja rodzica/opiekuna prawnego z udziału w programie, zdiagnozowane zaburzenia słuchu poza PPZ.

W ramach etapu I (badań przesiewowych słuchu u dzieci) wskazano na dwa badania: badanie otoskopowe uszu oraz badanie audiometryczne. W ramach etapu II zaplanowano działania edukacyjne dla dzieci oraz ich rodziców/opiekunów prawnych.

Zaproponowane interwencje znajdują zatem odzwierciedlenie w rekomendacjach i opiniach ekspertów.

*W ramach prowadzonych zadań w programie podejmowane będą działania informacyjne, których celem będzie dotarcie do jak największej liczby odbiorców. Wskazano, że realizator programu wybrany zostanie w drodze konkursu ofert.*

*W ramach ewaluacji zostaną wykorzystane następujące wskaźniki: „liczba dzieci, u których nastąpił wzrost wiedzy na temat ryzyka wystąpienia zaburzeń słuchu”, „liczba odbiorców kampanii edukacyjno-informacyjnej towarzyszącej programowi”, „liczba dzieci z klas I szkół podstawowych z terenu Gminy Miejskiej Kraków, u których rozpoznano zaburzenia słuchu”. Należy zaznaczyć, że wskaźnik odnoszący się do liczby odbiorców kampanii informacyjno-edukacyjnej nie spełnia funkcji miernika efektywności, może natomiast zostać wykorzystany podczas monitorowania. W treści programu podkreślono, że ewaluacja przeprowadzona zostanie do 3 miesięcy po jego zakończeniu (po analizie ankiet wypełnianych przez uczestników, okresowych raportów oraz uwzględnieniu oceny efektywności programu przygotowanej przez eksperta). Wskazano także, że ewaluacja dokonywana będzie przez gminę miejską Kraków we współpracy z ekspertem. Należy zaznaczyć, że ewaluacja programu powinna opierać się na porównaniu stanu przed wprowadzeniem działań w ramach programu, a stanem po jego zakończeniu, co zostało uwzględnione w projekcie.*

#### **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.431.59.2023 „Program polityki zdrowotnej w zakresie wykrywania zaburzeń słuchu u dzieci uczęszczających do szkół i placówek z terenu Gminy Miejskiej Kraków” realizowany przez: Miasto Kraków; data ukończenia październik 2023, oraz Aneksu do raportów szczegółowych „Badania przesiewowe słuchu u dzieci w wieku szkolnym – wspólne podstawy oceny” z października 2021 r.