



BP.401.41.2023.AG

**Protokół nr 41/2023
z posiedzenia Rady Przejrzystości
w dniu 16 października 2023 roku**

Adam Maciejczyk otworzył posiedzenie o godzinie 10:03.

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

1. Dominik Gajewski
2. Tomasz Hryniewiecki
3. Dorota Kilańska
4. Marcin Lipowski
5. Adam Maciejczyk
6. Tomasz Młynarski
7. Tomasz Pasierski
8. Janusz Szyndler
9. Monika Urbaniak

Członkowie Rady nieobecni przy rozpoczęciu posiedzenia:

1. Maciej Karaszewski

Proponowany porządek obrad:

1. Ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności wprowadzenia zmian w treści programu lekowego B.33. „Leczenie chorych z aktywną postacią reumatoidalnego zapalenia stawów i młodzieńczego idiopatycznego zapalenia stawów (ICD-10: M05, M06, M08)”.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Imfinzi (durvalumabum) w ramach programu lekowego „Leczenie chorych na raka dróg żółciowych (ICD-10: C22.1, C23, C24.0, C24.1, C24.8, C24.9)”.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego Valcyte (valganciclovirum) we wskazaniach:
 - zakażenie wirusem cytomegalii,
 - wrodzone zakażenie wirusem cytomegalii u pacjentów pediatrycznych.
5. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego Phlexy-Vits Sachets (proszek doustny), Phlexy- Vits (tabletki) we wskazaniu: glikogenoza Ib, argininobursztynuria oraz deficyt transportera glukozy GLUT- 1.
6. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program profilaktyki cukrzycy typu 2 oraz chorób układu sercowo-naczyniowego dla mieszkańców gminy Cieszyn na lata 2025-2029”.
7. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców gminy Cieszyn na lata 2025-2029”.

8. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program polityki zdrowotnej z zakresu zwiększenia dostępności do świadczeń pielęgnacyjnych i opiekuńczych w Gminie Miejskiej Kraków w ramach dziennego lub całodobowego pobytu dla osób niesamodzielnych niewymagających opieki instytucjonalnej oraz z zakresu wsparcia ich opiekunów nieformalnych”.
9. Zakończenie posiedzenia.

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

Przewodniczący Rady podjął decyzję o zamianie kolejności omawiania tematów.

Rada jednogłośnie (9 głosów „za”) przyjęła zaproponowany zmieniony porządek obrad.

Zmieniony porządek obrad:

2. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Imfinzi (durvalumabum) w ramach programu lekowego „Leczenie chorych na raka dróg żółciowych (ICD-10: C22.1, C23, C24.0, C24.1, C24.8, C24.9)”.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego Valcyte (valganciclovirum) we wskazaniach:
 - zakażenie wirusem cytomegalii,
 - wrodzone zakażenie wirusem cytomegalii u pacjentów pediatrycznych.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego Phlexy-Vits Sachets (proszek doustny), Phlexy- Vits (tabletki) we wskazaniu: glikogenoza Ib, argininobursztynuria oraz deficyt transportera glukozy GLUT- 1.
5. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program profilaktyki cukrzycy typu 2 oraz chorób układu sercowo-naczyniowego dla mieszkańców gminy Cieszyn na lata 2025-2029”.
6. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców gminy Cieszyn na lata 2025-2029”.
7. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program polityki zdrowotnej z zakresu zwiększenia dostępności do świadczeń pielęgnacyjnych i opiekuńczych w Gminie Miejskiej Kraków w ramach dziennego lub całodobowego pobytu dla osób niesamodzielnych niewymagających opieki instytucjonalnej oraz z zakresu wsparcia ich opiekunów nieformalnych”.
8. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności wprowadzenia zmian w treści programu lekowego B.33. „Leczenie chorych z aktywną postacią reumatoidalnego zapalenia stawów i młodzieńczego idiopatycznego zapalenia stawów (ICD-10: M05, M06, M08)”.
9. Zakończenie posiedzenia.

Ad 2. Analityk Agencji streścił raport w sprawie oceny leku Imfinzi (wniosek refundacyjny) w ramach programu lekowego dot. leczenia chorych na raka dróg żółciowych (ICD-10: C22.1, C23, C24.0, C24.1, C24.8, C24.9).

Do posiedzenia dołączył Maciej Karaszewski, który nie zadeklarował konfliktu interesów.

Projekt stanowiska Rady przedstawił Tomasz Młynarski.

Rada przeprowadziła dyskusję, w której głos zabrali: Adam Maciejczyk, Maciej Karaszewski, Tomasz Pasierski, Janusz Szyndler i Tomasz Młynarski.

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

Ad 3. Analityk Agencji omówił raport w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego Valcyte (import docelowy) we wskazaniach: zakażenie wirusem cytomegalii, wrodzone zakażenie wirusem cytomegalii u pacjentów pediatrycznych.

We wstępnej dyskusji głos zabrali: Maciej Karaszewski i Tomasz Hryniewiecki.

Projekt stanowiska Rady przedstawił Tomasz Hryniewiecki.

W dalszej części dyskusji udział wzięli: Adam Maciejczyk, Tomasz Hryniewiecki i Maciej Karaszewski.

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 podsumował najważniejsze informacje z raportu w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego Phlexy-Vits Sachets (proszek doustny), Phlexy- Vits (tabletki) we wskazaniu: glikogenoza Ib, argininobursztynuria oraz deficyt transportera glukozy GLUT- 1.

Projekt stanowiska Rady przedstawiła Monika Urbaniak.

W dyskusji uczestniczyli: Adam Maciejczyk, Monika Urbaniak, Janusz Szyndler i Dorota Kilańska.

W związku z brakiem innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 8 głosami „za”, przy 2 głosach „przeciw” (10 osób obecnych) uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 3 do protokołu).

Ad 5. Analityk Agencji omówił program polityki zdrowotnej dla mieszkańców gminy Cieszyn dot. cukrzycy typu 2 oraz chorób układu sercowo-naczyniowego.

Projekt opinii Rady przedstawił Marcin Lipowski.

W dyskusji udział wzięli: Janusz Szyndler, Adam Maciejczyk, Maciej Karaszewski, Tomasz Hryniewiecki, Tomasz Pasierski i Dorota Kilańska.

W związku z brakiem innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 8 głosami „za”, przy 2 głosach „przeciw” (10 osób obecnych) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 4 do protokołu).

Ad 6. Analityk Agencji omówił program polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego gminy Cieszyn z zakresu rehabilitacji leczniczej.

Projekt opinii Rady przedstawił Dominik Gajewski.

W dyskusji głos zabrali: Adam Maciejczyk, Maciej Karaszewski 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. Analityk Agencji omówił program polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program polityki zdrowotnej z zakresu zwiększenia dostępności do świadczeń pielęgnacyjnych i opiekuńczych w Gminie Miejskiej Kraków w ramach dziennego lub całodobowego pobytu dla osób niesamodzielnych niewymagających opieki instytucjonalnej oraz z zakresu wsparcia ich opiekunów nieformalnych”.

Posiedzenie opuścił Tomasz Hryniewiecki.

Projekt opinii Rady przedstawiła Dorota Kilańska.

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

Ad 8. Analityk Agencji podsumował najważniejsze informacje z raportu w sprawie zasadności wprowadzenia zmian w treści programu lekowego B.33. dot. leczenia chorych z aktywną postacią reumatoidalnego zapalenia stawów i młodzieńczego idiopatycznego zapalenia stawów (ICD-10: M05, M06, M08).

Projekt opinii Rady przedstawił Maciej Karaszewski

W związku z brakiem głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 7 do protokołu)

Ad 9. Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 12:29.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 119/2023 z dnia 16 października 2023 roku
w sprawie oceny leku Imfinzi (durwalumab) w ramach programu
lekowego „Leczenie chorych na raka dróg żółciowych (ICD-10: C22.1,
C23, C24.0, C24.1, C24.8, C24.9)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Imfinzi, durvalumabum, koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 50 mg/ml, 1 fioł. 10 ml, GTIN: 05000456031493, w ramach programu lekowego „Leczenie chorych na raka dróg żółciowych (ICD-10: C22.1, C23, C24.0, C24.1, C24.8, C24.9)”, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Rak dróg żółciowych stanowi około 3% wszystkich nowotworów przewodu pokarmowego i około 10% pierwotnych nowotworów wątroby. U większości chorych w chwili rozpoznania rak dróg żółciowych nie kwalifikuje się do wycięcia. Średni czas przeżycia pacjentów z rakiem pęcherzyka żółciowego to około 6 mies. Obecnie finansowane ze środków publicznych w Polsce we wskazaniu rak dróg żółciowych są wyłącznie leki stosowane w ramach chemioterapii.

Produkt leczniczy Imfinzi jest zarejestrowany do stosowania w leczeniu raku płuca i raku wątrobowokomórkowego, a także w skojarzeniu z gemcytabiną i cisplatyną w pierwszej linii leczenia osób dorosłych z nieoperacyjnym lub rozsianym rakiem dróg żółciowych.

Wniosek refundacyjny dotyczy objęcia ocenianego produktu refundacją w ramach programu lekowego obejmującego populację dorosłych pacjentów z miejscowo zaawansowanym lub przerzutowym gruczolakorakiem dróg żółciowych niepoddanych wcześniej leczeniu systemowemu z powodu zaawansowanego raka dróg żółciowych albo u których doszło do nawrotu choroby po uprzednim leczeniu chirurgicznym z intencją radykalną (niezależnie od zastosowania chemioterapii uzupełniającej). Zgodnie z wnioskiem technologia lekowa ma być refundowana w ramach istniejącej grupy limitowej.

Produkt Imfinzi jest obecnie refundowany w ramach programu lekowego B.6. dotyczącego niedrobnokomórkowego raka płuca.

Wnioskodawca jako technologię alternatywną dla skojarzenia durwalumabu, gemcytabiny i cisplatyny wskazał zastosowanie gemcytabiny i cisplatyny.

Według opinii eksperckiej liczebność populacji spełniającej kryteria włączenia do projektowanego programu lekowego wynosi 600 pacjentów, a wnioskowana technologia byłaby stosowana u około połowy z nich.

Dowody naukowe

Do przeglądu systematycznego wnioskodawcy włączono jedno randomizowane, podwójnie zaślepienie badanie kliniczne TOPAZ-1, którego celem była ocena efektów stosowania durwalumabu w skojarzeniu z gemcytabiną i cisplatyną względem gemcytabiny i cisplatyny stosowanych w skojarzeniu z placebo, w populacji pacjentów z rakiem dróg żółciowych.

W badaniu tym wykazano IS wydłużenie OS w grupie leczonej D-GC w porównaniu z PL-GC: HR (95% CI): 0,76 (0,64; 0,95), $p < 0,05$. Mediana przeżycia całkowitego (OS) wyniosła 12,9 miesiąca w grupie D-GC i 11,3 miesiąca w grupie otrzymującej PL-GC. Odsetek pacjentów żyjących w 24 mies. był IS wyższy w grupie D GC (23,6%) niż w grupie PL-GC (11,5%). Wykazano o 25% niższe ryzyko progresji lub nawrotu choroby (PFS) w grupie leczonej D-GC w porównaniu z PL-GC. Wykazano, że w grupie D-GC w porównaniu z pacjentami stosującymi PL-GC IS częściej wystąpiła obiektywna (26,7% vs. 18,7%) i częściowa odpowiedź na leczenie (24,6% vs. 18,1%), a także odpowiedź na leczenie trwająca przez ≥ 9 miesięcy (32,6% vs. 25,3%) i ≥ 12 miesięcy (26,1% vs. 15,0%). Nie wykazano IS różnic między grupami w prawdopodobieństwie uzyskania całkowitej odpowiedzi na leczenie i kontroli choroby.

W badaniu rzeczywistej praktyki klinicznej Rimini 2023 po medianie czasu obserwacji wynoszącej 8,5 miesiąca (95% CI: 7,9–13,6), mediana PFS wyniosła 8,9 miesiąca (95% CI: 7,4–11,7), natomiast mediana OS wyniosła 12,9 miesiąca (95% CI: 10,9–12,9). W ocenie badacza potwierdzony ORR wystąpił u 34,5% pacjentów, a wskaźnik kontroli choroby u 87,6%. Odsetek pacjentów uzyskujących potwierdzoną CR wyniósł 4,8%, natomiast PR uzyskało 29,6%, a SD 53,1% pacjentów.

Problem ekonomiczny

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy zastosowanie schematu D-GC w miejsce schematu GC jest droższe i skuteczniejsze. Oszacowana wartość parametru ICUR w wariancie z RSS znajduje się powyżej progu opłacalności.

Przeprowadzona przez wnioskodawcę analiza ekonomiczna charakteryzuje się ograniczeniami. Przyjęcie 20-letniego horyzontu czasowego wiąże się z koniecznością ekstrapolacji wyników badań o znacznie krótszym okresie obserwacji. W ramach rekomendacji PBAC 2023 wskazano, że we wnioskowanym wskazaniu ze względu na złe rokowanie pacjentów zasadnym wydaje się przyjęcie 5-letniego horyzontu czasowego analizy.

Dodatkowo, w swoim modelu wnioskodawca uwzględnił koszt immunoterapii w kolejnych liniach oraz jej refundację za zgodą płatnika, ta jednak aktualnie nie jest w Polsce refundowana.

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy w wariantcie podstawowym, w przypadku objęcia refundacją produktu leczniczego Imfinzi w ramach proponowanego programu lekowego nastąpi istotny wzrost wydatków płatnika publicznego. Istnieje natomiast w tej mierze niepewność związana z oszacowaniem wielkości populacji i odsetka pacjentów włączanych do leczenia durwalumabem.

Główne argumenty decyzji

- *Nieefektywność kosztowa.*
- *Niewielka dodatkowa korzyść w zakresie przeżycia wolnego od progresji i przeżycia całkowitego.*
- *Ograniczenia analizy klinicznej związane z badaniem TOPAZ-1 oraz brak dowodów na skuteczność i bezpieczeństwo ocenianej terapii w leczeniu pacjentów z rakiem brodawki Vatera.*

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.423.1.35.2023 „Wniosek o objęcie refundacją leku Imfinzi (durwalumab) w ramach programu lekowego: »Leczenie chorych na raka dróg żółciowych (ICD-10: C22.1, C23, C24.0,C24.1, C24.8, C24.9)«”; data ukończenia 5 października 2023.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 120/2023 z dnia 16 października 2023 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku
Valcyte (valganciclovirum) we wskazaniach: zakażenie wirusem
cytomegalii, wrodzone zakażenie wirusem cytomegalii u pacjentów
pediatrycznych

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację leku Valcyte (valganciclovirum) proszek do sporządzania roztworu doustnego 50 mg/ml, we wskazaniu: zakażenie wirusem cytomegalii oraz wrodzone zakażenie wirusem cytomegalii u pacjentów pediatrycznych.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Minister Zdrowia na podstawie art. 39 ust. 3 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2023 r. poz. 826.) zlecił zbadanie zasadności wydawania zgody na refundację w ramach importu docelowego: Valcyte, Valganciclovirum, proszek do sporządzania roztworu doustnego 50 mg/ml, we wskazaniach: zakażenie wirusem cytomegalii oraz wrodzone zakażenie wirusem cytomegalii u pacjentów pediatrycznych, sprowadzanego z zagranicy w oparciu o art. 4 ustawy z dnia 6 września 2001 r. Prawo farmaceutyczne (Dz.U. z 2022 r. poz. 2301, z późn. zm.).

W aktualnym obwieszczeniu Ministra Zdrowia dot. listy leków refundowanych z dnia 30 sierpnia 2023 r., produkt leczniczy Valcyte, proszek do sporządzania roztworu doustnego jest objęty refundacją we wskazaniach:

- zakażenie wirusem cytomegalii u pacjentów poddawanych przeszczepem narządów miękkich – profilaktyka po zakończeniu hospitalizacji związanej z transplantacją do 110 dni po przeszczepie – w przypadku udokumentowanych przeciwwskazań do stosowania walgancyklowiru w stałej doustnej postaci farmaceutycznej;*
- zakażenie wirusem cytomegalii u pacjentów poddawanych przeszczepem nerek – profilaktyka po zakończeniu hospitalizacji związanej z transplantacją do 200 dni po przeszczepie – w przypadku udokumentowanych*

przeciwwskazań do stosowania walgancyklowiru w stałej doustnej postaci farmaceutycznej,

oraz objęty refundacją we wskazaniach pozarejestacyjnych:

- zakażenie wirusem cytomegalii u pacjentów poddawanych przeszczepom kończyny, rogówki, szpiku, tkanek lub komórek – profilaktyka po zakończeniu hospitalizacji związanej z transplantacją do 110 dni po przeszczepie – w przypadku udokumentowanych przeciwwskazań do stosowania walgancyklowiru w stałej doustnej postaci farmaceutycznej;*
- zakażenia wirusem cytomegalii po transplantacji narządów lub szpiku – leczenie – w przypadku udokumentowanych przeciwwskazań do stosowania walgancyklowiru w stałej doustnej postaci farmaceutycznej; zakażenia wirusem Ebsteina-Barr po transplantacji narządów lub szpiku – leczenie – w przypadku udokumentowanych przeciwwskazań do stosowania walgancyklowiru w stałej doustnej postaci farmaceutycznej.*

Zakażenie ludzkim wirusem CMV (human betaherpesvirus 5, wirus cytomegalii, cytomegalowirus) może przebiegać jako:

- pierwotne, u osób, które nie miały wcześniej styczności z CMV;*
- wtórne, pod postacią reaktywacji zakażenia latentnego;*
- reinfekcja nowym szczepem.*

Zakażenie wtórne i reinfekcję określa się jako zakażenia nawrotowe. Po pierwotnym zakażeniu wirus pozostaje w organizmie w postaci latentnej do końca życia, z okresową reaktywacją, kiedy to może dojść do przeniesienia zakażenia na inne osoby. Wirusa wykrywa się w wielu tkankach. CMV zakaża komórki różnego typu, m.in. komórki dendrytyczne, komórki jednojądrowe (monocyty, makrofagi i limfocyty), komórki progenitorowe i prekursorowe hematopoezy (w tym megakariocyty), neutrofile, a także komórki nabłonkowe (w tym nerek), śródbłonna, fibroblasty, komórki mięśni gładkich. Objawy kliniczne zakażenia CMV wynikają z bezpośredniego cytopatycznego oddziaływania wirusa na zakażone komórki oraz z indukcji odpowiedzi zapalnej na zakażenie z naciekaniem tkanki przez leukocyty i zapaleniem naczyń. CMV ma potencjał immunomodulujący, może działać zarówno immunosupresyjnie, jak i prozapalnie.

Zakażenie CMV może przebiegać bezobjawowo albo w postaci cytomegalii (choroby cytomegalowirusowej). Obraz kliniczny zależy od statusu immunologicznego osoby zakażonej. U osób immunokompetentnych zakażenie pierwotne najczęściej przebiega bezobjawowo, skąpoobjawowo lub jako mononukleozą zakaźną, rzadko w postaci narządowej. U osób w stanie ciężkim z powodu innej choroby, bez dodatkowych czynników immunosupresyjnych, może dojść do reaktywacji zakażenia i rozwoju narządowej postaci choroby cytomegalowirusowej. Postaci narządowe zakażenia CMV występują najczęściej

u osób w stanie immunosupresji, a przebieg choroby cytomegalowirusowej jest u nich bardziej agresywny. Zakażenie CMV jest szczególnie niebezpieczne u osób po SOT lub HCT (zwłaszcza allogenicznym) i u osób z AIDS. Wrodzone zakażenie CMV (wCMV) jest najczęstszą przyczyną nieuwarunkowanego genetycznie niedosłuchu odbiorczego. Szacuje się, że na całym świecie wCMV występuje z częstością 7 przypadków na 1000 noworodków. Wrodzona cytomegalia ma duże znaczenie, bowiem często wywołuje niedosłuch u noworodków oraz jest istotną przyczyną upośledzenia umysłowego dzieci.

Wytyczne polskie i zagraniczne dotyczące cCMV (wrodzonej choroby spowodowanej przez cytomegalowirusa, ang. congenital cytomegalovirus infection) wskazują walgancyklowir w formie doustnej jako jeden z leków zalecanych przy leczeniu, stosowanie walgancyklowiru u noworodków z cCMV zaleca się jedynie w przypadku choroby o przebiegu od umiarkowanego do ciężkiego. Walgancyklowir zalecany jest także w leczeniu oportunistycznych infekcji (w tym CMV) w przebiegu AIDS. Wytyczne zalecają walgancyklowir w zakażeniach CMV oraz profilaktyce i terapii wyprzedzającej po przeszczepieniach komórek macierzystych szpiku i narządu litego, oraz chorych z wysokim ryzykiem infekcji CMV. Za komparator dla konkretnych wskazań dla ocenianej interwencji uznano: gancyklowir dożylnie oraz foskarnet dożylnie.

Dowody naukowe

Dowody naukowe dotyczące leczenia wrodzonego zakażenia wirusem cytomegalii u pacjentów pediatrycznych (cCMV) zawarte są w następujących badaniach: - wieloośrodkowe, jednoramiennie, otwarte badanie kliniczne - Morioka 2022, -wieloośrodkowe, kontrolowane, randomizowane, podwójnie zaślepione, badanie fazy III porównujące 6-tygodniowy i 6-miesięczny schemat leczenia doustnym walgancyklowirem, w grupie noworodków z objawowym przebiegiem cCMV - Kimberlin 2015, oraz randomizowane badanie kontrolowane, w którym pacjentów podzielono na dwie równe grupy objęte interwencją, każda z grup (n=24), grupa kontrolna otrzymywała dożylny zastrzyk GCV, grupa interwencyjna otrzymywała doustnie VGCV Yang 2021. Badania te wskazują na skuteczność i korzystny profil bezpieczeństwa stosowania walgancyklowiru w formie doustnej w tej grupie chorych.

Dowody naukowe dotyczące leczenia zakażenia wirusem cytomegalii (CMV) zawarte są między innymi w następujących badaniach: wieloośrodkowe, kontrolowane badanie typu non-inferiority, mające na celu porównanie skuteczności doustnego walgancyklowiru z dożylnym gancyklowirem w terapii indukcyjnej przeciw CMVR u pacjentów zakażonych HIV – Martin 2002, metaanalizę systemowego przeglądu ogólnej charakterystyki klinicznej i porównania wyników leczenia zapalenia przedniej błony naczyniowej oka i zapalenia śródbłonna wywołanego wirusem CMV – Nora 2020,

nierandomizowane badanie typu cross-over analizujące biorównoważność oraz bezpieczeństwo walgancyklowiru (VGC) podawanego w postaci roztworu doustnego względem tabletek u dorosłych chorych po przeszczepie nerek - Pescovitz 2007. Przedstawione badania wskazują na skuteczność i korzystny profil bezpieczeństwa stosowania walgancyklowiru w formie doustnej we wskazaniach: zakażenie CMV u pacjentów z obniżoną odpornością, zakażenie CMV u pacjentów zakażonych HIV oraz zakażenia CMV u pacjentów poddawanych przeszczepom narządów mięszowych lub szpiku.

Problem ekonomiczny

Valcyte znajduje się na liście refundacyjnej i jest refundowany w ramach grupy limitowej 116.2, Leki przeciwwirusowe - walgancyklowir do stosowania doustnego - płynne postacie farmaceutyczne, nie jest jednak dostępny w Polsce. Obecnie refundowany jest walgancyklowir w tabletkach tj. produkt leczniczy Valhit. Koszt leku Valcyte sprowadzanego w ramach importu docelowego jest 28-krotnie wyższy niż koszt leku Valhit. W latach 2017-2022 produkt leczniczy Valcyte został zrefundowany u 41-106 osób, głównie u pacjentów pediatrycznych (91-100%), z czego u 17%-45% w wieku 0 lat w zależności od roku. Łączna kwota refundacji za lata 2017-2022 wyniosła ok. 1,5 mln zł.

Refundacja produktu leczniczego Valcyte w ramach importu docelowego spowoduje spadek wydatków płatnika publicznego o około 0,4 mln zł w ciągu roku dla populacji z wrodzonym zakażeniem wirusem cytomegalii, wzrost wydatków płatnika publicznego o około 1,2 mln zł w ciągu roku dla populacji z zakażeniem wirusem cytomegalii – populacja po transplantacji oraz z chorobą wywołaną przez wirus HIV, której skutkiem jest cytomegalia. Łącznie wzrost wydatków płatnika wynosi około 0,8 mln zł. Uzyskane oszczędności w populacji z wrodzonym zakażeniem wirusem cytomegalii wynikają z założonej mniejszej liczby dni hospitalizacji w grupie stosującej leczenie doustne vs dożylnie w oparciu o publikację Jedlińska-Pijanowska 2020.

Założono, że liczebność populacji stosująca lek w ramach importu docelowego będzie zbliżona do liczby pacjentów stosujących lek Valcyte gdy był dostępny na rynku polskim i będzie stosowana w tej samej populacji. Valcyte jest refundowany w przypadku udokumentowanych przeciwwskazań do stosowania walgancyklowiru w stałej doustnej postaci farmaceutycznej oraz w węższych wskazaniach niż obecnie oceniane. Pomimo tego, że zlecenie dotyczy znacznie szerszego wskazania niż obecnie refundowane, to sprowadzanie leku w ramach procedury importu docelowego ograniczy populację, która skorzysta z leczenia. Obecnie jest dostępny i refundowany walgancyklowir w tabletkach tj. Valhit, zatem wnioskowany produkt leczniczy będzie najprawdopodobniej sprowadzany tylko w przypadku gdy lek w tabletkach nie jest możliwy do przyjęcia. Valcyte (walgancyklowir w postaci roztworu) sprowadzanego w ramach importu docelowego jest 28-krotnie wyższy niż koszt leku Valhit

(walgancyklowir w tabletkach), co mogłoby znacznie zwiększyć koszty płatnika publicznego. Żadne z wytycznych nie odnoszą się do postaci leku w leczeniu CMV, jedynie wskazują zasadność podania doustnego. Zgodnie z publikacją Pescovitz 2007 walgancyklowir w tabletkach jest biorównoważny względem walgancyklowiru w postaci roztworu doustnego.

Główne argumenty decyzji

- *wnioskowana postać walgancyklowiru jest niezbędna do zastosowania odpowiedniego dawkowania doustnego we wszystkich wskazaniach u pacjentów pediatrycznych,*
- *lek jest już objęty refundacją w przypadku udokumentowanych przeciwwskazań do stosowania w stałej doustnej postaci farmaceutycznej.*

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust. 2 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2022 r., poz. 2561 z późn. zm.) oraz w zw. z art. 39 ust. 3 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2022 r., poz. 2555 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania nr: OT.4211.13.2023 „Valcyte (valganciclovirum) we wskazaniach: zakażenie wirusem cytomegalii oraz wrodzone zakażenie wirusem cytomegalii u pacjentów pediatrycznych”; data ukończenia opracowania 12 października 2023 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 121/2023 z dnia 16 października 2023 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środków
spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego Phlexy-Vits
we wskazaniach: glikogenoza Ib, argininobursztynuria oraz deficyt
transportera glukozy GLUT-1

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne wydawanie zgód na refundację środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego

- *Phlexy-Vits Sachets, proszek doustny,*
- *Phlexy-Vits, tabletki*

we wskazaniach glikogenoza Ib, argininobursztynuria oraz deficyt transportera glukozy GLUT-1.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Minister Zdrowia na podstawie art. 39 ust. 3 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2023 r. poz. 826.) zlecił zbadanie zasadności wydawania zgody na refundację w ramach importu docelowego: środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego:

- *Phlexy-Vits Sachets, proszek doustny;*
- *Phlexy-Vits, tabletki*
we wskazaniach: glikogenoza Ib, argininobursztynuria oraz deficyt transportera glukozy GLUT- 1.

Phlexy-Vits Sachets (proszek doustny) oraz Phlexy-Vits (tabletki) sprowadzane są z zagranicy zgodnie z art. 4 ustawy z dn. 6 września 2001 r. Prawo farmaceutyczne (Dz.U. 2022 r., poz. 2301, z późn. zm.). Środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego Phlexy-Vits nie był dotychczas przedmiotem oceny Agencji.

Dowody naukowe

Nie odnaleziono dowodów naukowych oceniających skuteczność i bezpieczeństwo preparatu Phlexy-Vits.

Potencjalną alternatywną technologię dla preparatu Phlexy-Vits może stanowić preparat FruitiVits stanowiący, podobnie jak produkt Phlexy-Vits sachets, niskowęglowodanową, sproszkowaną mieszankę witamin, minerałów i pierwiastków śladowych. Zgodnie z ulotką, produkt FruitiVits wskazany jest w postępowaniu dietetycznym w stanach wymagających restrykcyjnej diety terapeutycznej, od 3. roku życia. Natomiast produkty Phlexy-Vits przeznaczone są do stosowania u starszych dzieci (od 11 lat) i dorosłych.

Produkt FruitiVits był przedmiotem oceny Agencji w roku 2021 w zakresie zasadności wydawania zgód na refundację w ramach importu docelowego we wskazaniu: uzupełnienie diety o witaminy i składniki mineralne w acydurii metylomalonowej, padaczce lekoopornej, deficycie dehydrogenazy pirogronianowej, deficycie transportera glukozy typu I, homocystynurii, glikogenozie typu I, kwasicy glutarowej typu I, deficycie liazy adenylobursztynianowej, deficycie syntazy karbamylofosforanu (CPS1), LCHAD (niedoborze dehydrogenazy długołańcuchowych kwasów tłuszczowych), acydurii propionowej (raport nr OT.4311.24.2020), uzyskując pozytywne opinie Rady Przejrzystości i Prezesa AOTMiT. Preparat FruitiVits został również uwzględniony jako alternatywna technologia dla Phlexy-Vits sachets w rekomendacji PBAC 2017.

Zidentyfikowano jedno otwarte prospektywne badanie Daly 2016 dotyczące stosowania produktu FruitiVits, do którego włączono dzieci z metabolicznymi chorobami rzadkimi (N=14), w tym kwasicą propionową (n = 1); kwasicą metylomalonową niewrażliwą na witaminę B12 (n=1); zaburzeniami cyklu mocznikowego (n = 4), glikogenozą 1a (n = 2) i 1b (n = 10).

Badanie Daly 2016 zostało również uwzględnione w raporcie Agencji z 2020 r. dotyczącym produktu FruitiVits we wskazaniu: uzupełnienie diety o witaminy i składniki mineralne w acydurii metylomalonowej, padaczce lekoopornej, deficycie dehydrogenazy pirogronianowej, deficycie transportera glukozy typu I, homocystynurii, glikogenozie typu I, kwasicy glutarowej typu I, deficycie liazy adenylobursztynianowej, deficycie syntazy karbamylofosforanu (CPS1), LCHAD (niedoborze dehydrogenazy długołańcuchowych kwasów tłuszczowych), acydurii propionowej (nr OT.4311.24.2020).

Nie odnaleziono publikacji dotyczących stosowania innych złożonych mieszanek witaminowo-mineralnych we wnioskowanych wskazaniach.

Problem ekonomiczny

Zgodnie z danymi przekazanymi przez MZ w okresie październik 2022 – wrzesień 2023 dotychczas wydano zgody na refundację 4 opakowań śsspz Phlexy-Vits Sachets oraz 3 opakowań Phlexy-Vits po 180 tabletek dla 2 pacjentów. Dla jednego z pacjentów sprowadzono 4 opakowania saszetek (zgłoszono prośbę

o kontynuację stosowania), zaś dla drugiego 3 opakowania tabletek (brak informacji o planowanej kontynuacji stosowania preparatu).

Uwzględniając powyższe dane oraz ceny oszacowane na podstawie danych przekazanych w zleceniu MZ, koszt stosowania produktów Phlexy-Vits Sachets oraz produktu Phlexy-Vits tabletki u tych pacjentów w okresie październik 2022 – wrzesień 2023 mógł wynieść odpowiednio 2 976,91 PLN i 2 270,33 PLN.

Uwzględniając założenia dot. wysokości cen, sugerowanego dawkowania zgodnie z ulotkami produktów oraz liczebności populacji zgodnie z danymi MZ i danymi przekazanymi przez ekspertów klinicznych, maksymalne koszty rocznego stosowania preparatów Phlexy Vits (saszetki i tabletki) i FruitiVits (saszetki) dla populacji ze zlecenia (4 pacjentów) wynoszą odpowiednio 36 219,05 PLN, 30 691,48 PLN oraz 22 021,55 PLN, natomiast dla maksymalnej populacji oszacowanej na podstawie danych przekazanych przez ekspertów klinicznych (103 pacjentów) odpowiednio: 932 640,53 PLN, 790 305,51 PLN oraz 567 055,03 PLN.

Główne argumenty decyzji

- nie odnaleziono dowodów naukowych oceniających skuteczność i bezpieczeństwo preparatu Phlexy-Vits;
- jedyne badanie, w którym stosowano preparat Phlexy-Vits dotyczyło padaczki lekoopornej wymagającej stosowania KD; nie przytoczono odrębnych wyników dla grupy go stosującej ani konkretnych wskazań, prowadzących do wystąpienia padaczki;
- w badaniu opisującym stosowanie KD nie wskazano jakiego rodzaju preparatami suplementowano stwierdzone u pacjentów niedobory;
- w opisanych badaniach liczebność populacji była niska i dotyczyła wyłącznie pacjentów pediatrycznych stosujących diety ketogeniczne w różnych wskazaniach;
- nie odnaleziono dowodów dotyczących stosowania innych restrykcyjnych diet (np. niskotłuszczowej wysokowęglowodanowej, niskobiałkowej)

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust. 2 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2022 r., poz. 2561 z późn. zm.) oraz w zw. z art. 39 ust. 3 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2022 r., poz. 2555 z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr: OT.4211.15.2023 „Phlexy-Vits, we wskazaniach: glikogenoza lb, argininobursztynuria oraz deficyt transportera glukozy GLUT-1”; data ukończenia 12 października 2023 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 170/2023 z dnia 16 października 2023 roku
o projekcie programu „Program profilaktyki cukrzycy typu 2 oraz chorób układu sercowo-naczyniowego dla mieszkańców gminy Cieszyn na lata 2025-2029” realizowany przez Miasto Cieszyn

Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki cukrzycy typu 2 oraz chorób układu sercowo-naczyniowego dla mieszkańców gminy Cieszyn na lata 2025-2029” realizowany przez Miasto Cieszyn.

Uzasadnienie

Oceniany projekt PPZ odnosi się do istotnych problemów zdrowotnych jakimi są cukrzyca typu 2 oraz choroby układu krążenia. Wnioskodawca przedstawił definicję, przyczyny, objawy i czynniki ryzyka oraz metody leczenia ww. chorób. Do środowiskowych czynników ryzyka cukrzycy typu 2 należą przede wszystkim nadwaga i otyłość (zwłaszcza brzuszna) oraz mała aktywność fizyczna. Osoby otyłe są trzykrotnie bardziej narażone na wystąpienie cukrzycy typu 2, a ok. 85-90% chorych to osoby z otyłością. Zmiana stylu życia bazująca przede wszystkim na stosowaniu odpowiedniej diety oraz wysiłku fizycznego, stanowi podstawowy element nefarmakologicznego postępowania w cukrzycy. W przypadku chorób układu krążenia niezwykle ważnym elementem oddziaływania jest odpowiednia edukacja zdrowotna, zmierzająca do modyfikacji stylu życia pacjenta tak, aby ograniczyć bądź całkowicie zniwelować czynniki ryzyka ich rozwoju.

Głównym celem projektu jest podniesienie lub utrzymanie wiedzy w zakresie profilaktyki pierwotnej i wtórnej cukrzycy typu 2 oraz chorób układu sercowo-naczyniowego, w tym czynników ryzyka tych schorzeń, ich powstawania, wczesnych objawów oraz powikłań, wśród 70% uczestników programu.

Populację docelową stanowią mieszkańcy gminy Cieszyn w wieku 40-59 lat, dotknięci problemem nadwagi/otyłości, z wyłączeniem osób, u których już wcześniej zdiagnozowano cukrzycę typu 2 lub chorobę układu sercowo-naczyniowego. Oszacowano, że w programie powinno wziąć udział ok. 3 tys. osób, jednak z uwagi na ograniczone możliwości finansowe gminy,

program obejmie corocznie ok. 215 uczestników, a w całym okresie realizacji ok. 1 075 osób, co stanowi ok. 36% populacji docelowej.

W ramach programu zaplanowano następujące interwencje: przeprowadzenie kwalifikującej wizyty pielęgniarskiej (w tym pomiary antropometryczne), badań przesiewowych dotyczących cukrzycy: badanie FPG (oznaczenie glikemii na czczo w osoczu krwi żyłnej), badania OGTT (doustny test obciążenia glukozą), badań przesiewowych dotyczących chorób układu sercowo-naczyniowego (morfologia, cholesterol całkowity, cholesterol LDL, cholesterol HDL, cholesterol nie-HDL, trójglicerydy), działań profilaktycznych: konsultacji lekarskiej, dwóch porad dietetycznych (wraz z przygotowaniem indywidualnego 14-dniowego jadłospisu), zajęć aktywności fizycznej, a także działań edukacyjnych.

Kryteria włączenia i wyłączenia z programu zostały określone w odniesieniu do poszczególnych interwencji zaplanowanych w projekcie.

Zaplanowane postępowanie - badania przesiewowe mające na celu identyfikację osób z nieprawidłową tolerancją glukozy lub rozpoznaniem cukrzycy - jest zgodne z zaleceniami PTD 2023. Według wytycznych klinicznych celem wczesnego wykrycia i zapobiegania chorobom sercowo-naczyniowym zaleca się badania przesiewowe z oceną ryzyka ich wystąpienia, pomiarem ciśnienia tętniczego oraz wykonaniem profilu lipidowego. Badania te mogą być realizowane w populacji ogólnej oraz wysokiego ryzyka. Jeśli istnieje podejrzenie hipercholesterolemii rodzinnej zaleca się testy genetyczne wraz z wywiadem rodzinnym (CCS 2020, C-CHANGE 2018, USPSTF 2018a, ESC/ESH 2018, CCS 2018, AAP 2017, RACGP 2016, ESC/ EACPR 2016, CSANZ 2016, USPSTF 2016, CFP 2015, BSC 2014, NICE 2010a).

Projekt zawiera opis etapów i działań, przedstawiono też informacje dotyczące personelu, wyposażenia i warunków lokalowych. Projekt obejmuje akcję informacyjną, w ramach której zostaną przekazane pacjentom terminy kwalifikacji do programu, badań przesiewowych oraz działań profilaktycznych.

Realizatorem programu będzie podmiot, wyłoniony w drodze konkursu ofert, co jest zgodne z zapisami ustawowymi.

Projekt programu zakłada przeprowadzenie jego monitorowania i ewaluacji.

W projekcie programu przedstawiono koszty jednostkowe interwencji w ramach badań przesiewowych i działań profilaktycznych; zawarto też koszty w podziale na etapy i interwencje ogółem. Całkowity koszt programu oszacowano na 494 600 zł (98 920 zł rocznie). Program ma zostać sfinansowany z budżetu gminy Cieszyn.

Oceniany projekt zawiera interwencje, które w przypadku badań przesiewowych powielają w większości świadczenia gwarantowane. W ramach POZ finansowane jest oznaczanie glikemii na czczo oraz doustny test obciążenia glukozą, natomiast w zakresie profilaktyki chorób układu krążenia badania biochemiczne krwi tj. stężenie we krwi cholesterolu całkowitego, LDL-cholesterolu,

HDL-cholesterolu, triglicerydów i poziomu glukozy. Ponadto, rozporządzenie MZ z dn. 15 września 2022r. wprowadziło w ramach POZ opiekę koordynowaną w zakresie diagnostyki i leczenia cukrzycy. Specjalistyczna porada diabetologiczna znajduje się w wykazie świadczeń gwarantowanych w AOS. Na terenie gminy Cieszyn nie działa żaden podmiot świadczący usługi z zakresu diabetologii.

Główne argumenty decyzji

- *zaplanowane badania przesiewowe powielają w większości świadczenia gwarantowane w POZ, a porada specjalistyczna z zakresu diabetologii znajduje się w wykazie świadczeń gwarantowanych w AOS;*
- *przed rokiem wprowadzona została w ramach POZ opieka koordynowana w zakresie diagnostyki i leczenia cukrzycy.*

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.431.61.2023 „Program profilaktyki cukrzycy typu 2 oraz chorób układu sercowo-naczyniowego dla mieszkańców gminy Cieszyn na lata 2025-2029” realizowany przez: Miasto Cieszyn; data ukończenia październik 2023 oraz raportem nr: OT.434.1.2021 „Program profilaktyki cukrzycy typu 2” ze stycznia 2021 r. oraz raportem nr: OT.423.8.2018, OT.423.9.2019 „Program profilaktyki chorób układu sercowo-naczyniowego, nadciśnienia tętniczego i hipercholesterolemii” z grudnia 2020 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 171/2023 z dnia 16 października 2023 roku
o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej w zakresie
rehabilitacji leczniczej mieszkańców gminy Cieszyn na lata 2025-
2029” realizowany przez: Gminę Cieszyn

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców gminy Cieszyn na lata 2025-2029” realizowany przez: Gminę Cieszyn, pod warunkiem pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest projekt programu polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej zaplanowany do realizacji przez gminę Cieszyn. Populację docelową programu stanowią dorośli mieszkańcy gminy Cieszyn z rozpoznaniem choroby przewlekłej lub zapalnej układu ruchu, urazem lub chorobą obwodowego układu nerwowego. Projekt zakłada przeprowadzenie edukacji zdrowotnej oraz indywidualnego planu rehabilitacyjnego. Program ma być realizowany w latach 2025-2029. Całkowity koszt realizacji oszacowano na 500 000 zł (100 000 zł rocznie).

***Głównym założeniem projektu programu jest:** „zmniejszenie dolegliwości bólowych u co najmniej 40% uczestników programu, dotkniętych problemem urazów, chorób obwodowego układu nerwowego lub chorób układu ruchu, poprzez kompleksowe działania rehabilitacyjne prowadzone na terenie gminy w latach 2025-2029”. Warto wskazać, że cel główny powinien być wyraźnie zdefiniowany i precyzyjnie (w odniesieniu do planowanego czasu) wytyczony, a jego osiągnięcie powinno stanowić potwierdzenie skuteczności zaplanowanych działań.*

***Cel główny** jest możliwy do realizacji za pomocą zaplanowanych w programie działań rehabilitacyjnych. Nie wskazano jednak uzasadnienia dla podanej wartości docelowej.*

Wskazano również 1 cel szczegółowy: „uzyskanie lub utrzymanie wysokiego poziomu wiedzy w zakresie profilaktyki wtórnej urazów, chorób obwodowego układu nerwowego i chorób układu ruchu u co najmniej 60% uczestników programu”. Cel szczegółowy jest możliwy do osiągnięcia ze względu na zaplanowane działania edukacyjne. W projekcie programu zaplanowano także pomiar wzrostu wiedzy uczestników za pomocą przeprowadzania pre- i post-testów. Do projektu nie załączono wzorów ww. testów, w związku z tym nie było możliwe zweryfikowanie ich treści. Nie wskazano również uzasadnienia dla podanej wartości docelowej.

W projekcie programu zaproponowano 2 mierniki efektywności: (1) „odsetek osób, u których doszło do poprawy stanu zdrowia w postaci zmniejszenia dolegliwości bólowych w związku z otrzymanymi w programie świadczeniami (wyniki skali VAS - różnica pomiędzy wartością uzyskaną w pierwszym oraz ostatnim dniu otrzymywania świadczeń w programie; wd. co najmniej 40%)”, (2) „odsetek uczestników programu, u których w post-teście po zajęciach edukacji zdrowotnej odnotowano wysoki poziom wiedzy (odsetek post-testów z min. 80% poprawnych odpowiedzi względem wszystkich wypełnionych pre- testów)”. Należy zaznaczyć, że zgodnie z definicją mierniki efektywności powinny umożliwiać obiektywną i precyzyjną ocenę stopnia realizacji celów oraz powinny być istotnym odzwierciedleniem zdarzeń lub faktów występujących w danym programie wyrażonych w odpowiednich jednostkach miary. Miernik nr 1 dotyczy zmniejszenia dolegliwości bólowych i odnosi się do celu głównego. Wskazana skala VAS umożliwia ocenę skuteczności leczenia przeciwbólowego, co pozwoli na ocenę efektywności działań fizjoterapeutycznych w programie. Miernik nr 2 dotyczy wzrostu poziomu wiedzy i odnosi się do celu szczegółowego. W ramach miernika zdefiniowano również znaczenie wysokiego poziomu wiedzy, co jest działaniem zasadnym. Dodatkowo do projektu załączono wzór karty oceny skuteczności ww. działań realizowanych w ramach programu.

Przedstawiono **kryteria włączenia** do programu, wśród których wymienia się: zamieszkiwanie na terenie gminy Cieszyn (na podstawie oświadczenia uczestnika); rozpoznanie choroby przewlekłej lub zapalnej układu ruchu, urazu lub choroby obwodowego układu nerwowego; skierowanie na rehabilitację leczniczą od lekarza POZ lub lekarza specjalisty.

Kryterium wyłączenia z programu stanowić będzie korzystanie ze świadczeń rehabilitacji leczniczej finansowanych przez gminę Cieszyn, NFZ, ZUS, KRUS lub PFRON z powodu ww. jednostek chorobowych w okresie 6 miesięcy przed zgłoszeniem się do programu (na podstawie oświadczenia uczestnika).

Zgodnie z treścią PPZ, **edukacja zdrowotna** obejmować będzie rolę diety oraz suplementacji diety, a także aktywności fizycznej oraz ergonomii pracy w profilaktyce wtórnej chorób układu ruchu oraz urazów; zapobieganie wypadkom i zranieniom; istotność prowadzenia zdrowego trybu życia, a także sposoby radzenia sobie ze stresem.

W ramach programu dla każdego uczestnika zostanie przygotowany **indywidualny plan rehabilitacyjny**, określony z uwzględnieniem rodzajów i liczby zabiegów wskazanych w skierowaniu od lekarza POZ/lekarza specjalisty lub przez fizjoterapeutę przy kwalifikacji uczestnika do programu.

Projekt zawiera **opis etapów i działań** podejmowanych w ramach programu. Pierwszym etapem będzie akcja informacyjna. Następnie zaplanowano indywidualne plany rehabilitacji, edukację zdrowotną i analizę kwartalnych sprawozdań dot. zgłaszalności. Kolejnymi etapami jest ewaluacja oraz przygotowanie raportu końcowego z realizacji programu.

Zaplanowane interwencje fizykoterapeutyczne i kinezyterapeutyczne znajdują się w wykazie świadczeń gwarantowanych z zakresu rehabilitacji leczniczej (na terenie gminy Cieszyn funkcjonuje 2 świadczeniodawców udzielających świadczeń z zakresu rehabilitacji leczniczej).

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.431.62.2023 „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców gminy Cieszyn na lata 2025-2029” realizowany przez: Gminę Cieszyn; data ukończenia październik 2023 oraz Aneksu do raportów szczegółowych „Programy z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży – wspólne podstawy oceny” z sierpnia 2016 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 172/2023 z dnia 16 października 2023 roku
o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej z zakresu
zwiększenia dostępności do świadczeń pielęgnacyjnych i
opiekuńczych w Gminie Miejskiej Kraków w ramach dziennego lub
całodobowego pobytu dla osób niesamodzielnych niewymagających
opieki instytucjonalnej oraz z zakresu wsparcia ich opiekunów
nieformalnych” realizowany przez Miasto Kraków

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej z zakresu zwiększenia dostępności do świadczeń pielęgnacyjnych i opiekuńczych w Gminie Miejskiej Kraków w ramach dziennego lub całodobowego pobytu dla osób niesamodzielnych niewymagających opieki instytucjonalnej oraz z zakresu wsparcia ich opiekunów nieformalnych” realizowany przez: Miasto Kraków, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

W Krakowie liczba pacjentów, korzystających z opieki długoterminowej (na 100 tys.) jest znacznie wyższa niż w innych powiatach na terenie małopolski oraz znacznie wyższa niż wskaźnik dla całej Polski. Dodatkowo Badania opinii mieszkańców Małopolski na temat istotnych dla rozwoju województwa obszarów działań samorządu wojewódzkiego” z 2020 r. pokazują, że na co dzień osobami starszymi opiekuje się 15%, a osobami niepełnosprawnymi 4% badanych Małopolan. W UE populacja dorosłych zapewniających opiekę nieformalną to średnio 34,3% osób zaangażowanych w dostarczanie opieki nieformalnej, pozainstytucjonalnej (Björn 2021).

Celem głównym PPZ jest zachowanie lub zwiększenie sprawności psychofizycznej u co najmniej 50% uczestników programu (osób niesamodzielnych) w okresie jego realizacji, tj. w latach 2023-2027.

Populacja wskazana w projekcie, to osoby niesamodzielne z chorobami neurodegeneracyjnymi oraz ich opiekunowie nieformalni (675 osób niesamodzielnych oraz opiekunów nieformalnych (wariant A); osoby niesamodzielne ze szczególnym uwzględnieniem osób z chorobami neurodegeneracyjnymi oraz ich opiekunowie nieformalni (2 636 osób niesamodzielnych oraz opiekunów nieformalnych (wariant B). Program zaprojektowano na lata 2023-2027.

Interwencje zaplanowane w PPZ polegają na: prowadzeniu Placówki Diennej Opieki i Aktywizacji osób niesamodzielnych, edukacja opiekunów nieformalnych osób niesamodzielnych oraz bezpłatna wypożyczalnia sprzętu medycznego (model A); prowadzeniu Placówki Diennej Opieki i Aktywizacji osób niesamodzielnych, edukacja opiekunów nieformalnych osób niesamodzielnych oraz bezpłatna wypożyczalnia sprzętu medycznego, a także prowadzenie Całodobowego Oddziału Opieki Wytchnieniowej (model B).

Wskazano kryteria włączenia i wyłączenia do programu. Określono także narzędzia do oceny efektywności interwencji z wyjątkiem interwencji edukacyjnych, nie wskazano także na przygotowanie przewodników/protokołów edukacyjnych, które powinny być opracowane przez interprofesjonalny zespół uczestniczący w procesie dostarczania świadczeń oraz narzędzi do oceny efektów edukacji.

W modelu skoncentrowanym na osobie zwraca się uwagę na m.in. na udzielanie konkretnych informacji opartych na dowodach i wyjaśnienie zasad opieki oraz leczenia poprzez powiązanie z potrzebami zdrowotnymi danej osoby. Interwencje edukacyjne winny być realizowane w sposób symultaniczny w każdym momencie kontaktu z pacjentem i powtarzane indywidualnie do potrzeb (ACSQHC 2011; Aujoulat i in. 2007; Duggan i in. 2006; Hudon i in. 2012; Makoul i Clayman 2006; Olsson i in. 2013; RNAO 2002, 2006; Smith i in. 2011) na podstawie oceny kompetencji zdrowotnych, jak np. rekomendowany do opieki przejściowej, kwestionariusz oceny gotowości do opieki/samopieki C-HOBIC (RNAO/ICN 2013). Efektywność edukacji potwierdzona w badaniach, to edukacja indywidualna, dostosowana do potrzeb klienta/pacjenta z zastosowaniem Modelu 5A (Prochaska).

Świadczenia realizowane w proponowanych modelach opieki, to: opieka pielęgnarska, w tym udział w farmakoterapii, dobór i zmiana specjalistycznych opatrunków, pomiary parametrów życiowych, edukacja pacjenta dotycząca

samoopieki i samopielęgnacji, wsparcie psychologa i dietetyka. Wsparcie realizowane przez: pielęgniarkę, psychologa, dietetyka.

Zaplanowano wsparcie edukacyjne polegające na udzielaniu informacji, edukacji i poradnictwu (w tym psychologicznym), zarówno dla opiekunów, jak i pacjentów. Powyższe działania będą mieć na celu przygotowanie rodziny i opiekunów pacjenta do kontynuacji opieki w domu (opieka przejściowa).

Zaplanowano także pomoc w podstawowych czynnościach życiowych oraz zmniejszenia deficytu w zakresie samopielęgnacji, udział w zajęciach terapeutycznych, podnoszących sprawność i aktywizujących do uczestnictwa w życiu społecznym, organizację czasu wolnego a także doradztwo w doborze odpowiednich wyrobów medycznych i rehabilitacyjnych, usprawnianie ruchowe oraz stymulacja procesów poznawczych.

Świadczenia będą realizowane w oparciu o indywidualne plany działania (kompleksowe plany opieki interprofesjonalnej), przygotowywane przez zespół terapeutyczny jednostki (tj. psychologa, dietetyka, pielęgniarkę, fizjoterapeutę, opiekuna, terapeutę zajęciowego).

W programie nie wskazano zaplanowania „Planu postępowania dla pacjenta/opiekuna” w samodzielnym zarządzaniu chorobą. Pacjent powinien mieć zawsze świadomość, kto spośród zaangażowanych świadczeniodawców pełni funkcję „punktu kontaktowego”, do kogo może zwracać się z pytaniami, kto jest (ostatecznie) odpowiedzialny za sprawowanie opieki i czym zadaniem jest koordynacja opieki (kto jest koordynatorem/nawigatorem). Alokacja tych trzech zadań między jak najmniejszą liczbę świadczeniodawców opieki zdrowotnej ma tu kluczowe znaczenie. Jeśli jest to możliwe, zadania te powinny być pełnione przez jednego świadczeniodawcę, np. pielęgniarkę, która będzie zarządzała przypadkiem i będzie odpowiedzialna za przygotowanie interprofesjonalnego planu opieki (poziom dowodów IA).

Program będzie finansowany ze środków miasta Krakowa.

Uwagi Rady:

- we wniosku nie wskazano sposobu koordynacji opieki przejściowej (Care transition) pomiędzy podmiotami, które będą zaangażowane w opiekę instytucjonalną i pozainstytucjonalną. Interwencje w ramach opieki przejściowej pod koniec okresu hospitalizacji mają na celu usprawnienie przejścia z opieki szpitalnej na domową oraz zmniejszenie liczby ponownych przyjęć do szpitala. Pod koniec pobytu w szpitalu pacjenci są przygotowywani

przez pielęgniarki do powrotu do domu, które w razie potrzeby, kontaktują się z opieką domową. Pielęgniarki szkolą pacjentów i opiekunów nieformalnych w zakresie samoopieki w środowisku domowym. Udowodniono skuteczność modelu w praktyce (Verhaegh i wsp.; NFZ 2017);

- *należy podkreślić, że efektywna edukacja wymaga zindywidualizowanego kompleksowego planu opieki jako rezultatu oceny kompetencji zdrowotnych (wiedza i umiejętności), w oparciu o przygotowane przewodniki/protokoły edukacyjne i metodę edukacji odwróconej;*
- *plan opieki, w opiece koordynowanej, wymaga uwzględnienia komponentów: potrzeb zdrowotnych i społecznych osoby; ilość wsparcia wymaganego od opiekunów nieformalnych w odpowiedzi na te potrzeby; zaplanowania ścieżki realizację opieki i świadczeń przez profesjonalistów; alokacji zadań i obowiązków między opiekunów nieformalnych i profesjonalistów; przygotowania harmonogramów dla opiekunów formalnych i nieformalnych (Guus Shrijvers, NFZ 2017).*

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.431.63.2023 „Program polityki zdrowotnej z zakresu zwiększenia dostępności do świadczeń pielęgnacyjnych i opiekuńczych w Gminie Miejskiej Kraków w ramach dziennego lub całodobowego pobytu dla osób niesamodzielnych niewymagających opieki instytucjonalnej oraz z zakresu wsparcia ich opiekunów nieformalnych” realizowany przez: Miasto Kraków; data ukończenia październik 2023, oraz aneksów do raportów „Programy z zakresu profilaktyki geriatrycznej – wspólne podstawy oceny”, sierpień 2015 r. oraz Raportem AOTMiT nr OT.441.337.217.MiS z grudnia 2017 r. do PPZ pn. „Dzienny Dom Opieki Medycznej w Gminie Miejskiej Kraków”.



Opinia Rady Przejrzystości

nr 173/2023 z dnia 16 października 2023 roku

w sprawie zasadności wprowadzenia zmian w dotychczasowym opisie programu lekowego B.33: „Leczenie chorych z aktywną postacią reumatoidalnego zapalenia stawów i młodzieńczego idiopatycznego zapalenia stawów (ICD-10: M05, M06, M08)”

Rada Przejrzystości uważa za zasadne zmianę w dotychczasowym opisie programu lekowego B.33: „Leczenie chorych z aktywną postacią reumatoidalnego zapalenia stawów i młodzieńczego idiopatycznego zapalenia stawów (ICD-10: M05, M06, M08)”. i umożliwienie włączania do programu lekowego osób z umiarkowaną postacią choroby.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Reumatoidalne zapalenie stawów (RZS) to przewlekła układowa choroba tkanki łącznej o podłożu immunologicznym i nieznannej etiologii, charakteryzująca się nieswoistym symetrycznym zapaleniem stawów, zmianami pozastawowymi i objawami układowymi, prowadząca do niepełnosprawności i przedwczesnej śmierci. Zależnie od obecności lub nieobecności w surowicy autoprzeciwciał (czynnika reumatoidalnego w klasie IgM i/lub przeciwciał przeciwko cytrulinowanemu peptydom [ACPA]) odróżnia się serologicznie dodatnią albo ujemną postać choroby. W Polsce częstość występowania RZS wynosi 0,9% (95%CI: 0,6 – 1,2%), w tym u kobiet 1,06% i 0,74%u mężczyzn [PPZ 2016].

Aktualnie w ramach programu lekowego B.33 lekami biologicznymi leczonych jest ok. 11 200 pacjentów.

Zaproponowane zmiany w zapisach programu lekowego dotyczą kryterium kwalifikacji w zakresie definicji dużej aktywności choroby RZS polegającej na obniżeniu wartości DAS 28, DAS, SDAI. Ocena zasadności wprowadzenia zmian w opisie programu lekowego: B.33. „Leczenie reumatoidalnego zapalenia stawów i młodzieńczego idiopatycznego zapalenia stawów o przebiegu agresywnym (ICD-10 M 05, M 06, M 08)” była przedmiotem oceny Agencji w 2020 roku. W opinii nr 319/2020 z dnia 23 listopada 2020 roku Rada Przejrzystości uważa za zasadne wprowadzenie wszystkich proponowanych zmian w programie lekowym B.33 „Leczenie reumatoidalnego zapalenia stawów

i młodzieńczego idiopatycznego zapalenia stawów o przebiegu agresywnym (ICD-10 M 05, M 06, M 08)”. „Umożliwienie kwalifikacji do programu chorych z umiarkowaną aktywnością RZS definiowaną wg wartości DAS28/DAS/SDA.

Dowody naukowe

Odnaleziono 3 dokumenty zagraniczne: EULAR 2016/2022, ACR 2015/2021, NICE 2020 dotyczące leczenia reumatoidalnego zapalenia stawów RZS. Zgodnie z wytycznymi EULAR 2016/2022 i ACR 2015/2022 duża aktywność choroby występuje przy SDAI większym niż 26, natomiast umiarkowana aktywność choroby, gdy SDAI jest od 11 do 26. Zgodnie z wytycznymi ACR 2015/2022 i NICE 2020 wartość DAS28: dla dużej aktywności choroby jest od 5,1, natomiast umiarkowana aktywność choroby, gdy DAS 28 wynosi od 3,2 do 5,1. W odnalezionych wytycznych nie odnaleziono definicji kryteria aktywności choroby według wskaźnika DAS. Zgodnie z rekomendacjami EULAR, który zaleca jako cel terapeutyczny osiągnięcie remisji, lub jeśli nie jest to możliwe, niskiej aktywności choroby (definiowanej wg wskaźników DAS28 poniżej lub równe 3,2, DAS poniżej lub równe 2,4 lub SDAI poniżej lub równe 11). W przypadku niemożliwości osiągnięcia celu terapeutycznego przy pomocy klasycznych leków modyfikujących przebieg choroby EULAR zaleca włączenie leczenia biologicznego lub syntetycznych celowanych leków modyfikujących przebieg choroby czyli inhibitorów JAK — a więc już w przypadku aktywności choroby DAS28 powyżej 3,2, DAS powyżej 2,4 lub SDAI powyżej 11.

Zgodnie z ChPL: substancje czynne adalimumab, certolizumab pegol, etanercept, infliksymab, tocilizumab, baricytynib, tofacytynib, upadacytynib, filgotynib, są wskazane w skojarzeniu z metotreksatem w leczeniu czynnego reumatoidalnego zapalenia stawów o nasileniu umiarkowanym do ciężkiego u dorosłych pacjentów, gdy odpowiedź na leki modyfikujące przebieg choroby (ang. disease-modifying anti-rheumatic drugs – DMARDs) okazała się niewystarczająca (lub którzy nie tolerują takiego leczenia - w przypadku baricytynib, filgotynibu, tocilizumabu, upadacytynibu).

Problem ekonomiczny

Wzrost wydatków całkowitych związanych z realizacją programu po wprowadzeniu zmian wynosić będzie zależnie od scenariusza od 167 mln do 634 mln w okresie 4 lat. Szacowanie jest jednak obarczone dużą niepewnością. Na przedstawione wyniki ma wpływ przyjęcie założeń o kosztach technologii, udziale w rynku, wykorzystaniu świadczeń medycznych oraz stabilności makroekonomicznej. Dodatkowo, koszty związane z tocilizumabem stosowanym dożylnie oraz infliksymabem mogą być istotnie niższe (nawet ok. 30%) ze względu na założenie masy ciała 100 kg, gdzie należy wskazać, iż większość chorych to kobiety powyżej 50 r.ż. Tym samym, obciążenie dla budżetu płatnika w rzeczywistości nie będzie tak wysokie.

Główne argumenty decyzji

Proponowane zmiany są zgodne:

- 1. z dostępnymi wytycznymi i praktyką kliniczną;*
- 2. zapisami ChPL .*

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 nr OT.422.0.13.2023 „Opracowanie dotyczące oceny zasadności wprowadzenia zmian w dotychczasowym opisie programu lekowego B.33: »Leczenie chorych z aktywną postacią reumatoidalnego zapalenia stawów i młodzieńczego idiopatycznego zapalenia stawów (ICD-10: M05, M06, M08)« propozycja zmiany kryteriów włączenia do PL B.33”; data ukończenia: 12 października 2023 r.