



BP.401.44.2023.AG

**Protokół nr 44/2023
z posiedzenia Rady Przejrzystości
w dniu 6 listopada 2023 roku**

Janusz Szyndler otworzył posiedzenie o godzinie 10:14.

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

1. Damian Czyżewski
2. Dominik Gajewski
3. Maciej Karaszewski
4. Dorota Kilańska
5. Marcin Kołakowski
6. Adam Maciejczyk
7. Tomasz Młynarski
8. Jakub Pawlikowski
9. Rafał Suwiński
10. Janusz Szyndler

Proponowany porządek obrad:

1. Ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad.
2. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego Calcort (deflazacort) we wskazaniu: miastenia.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Monogen we wskazaniach:
 - deficyt LCHAD,
 - deficyt VLCAD,
 - deficyt MTP,
 - naczyniakowatość limfatyczna jelita cienkiego.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego Thiola (tiopronina) we wskazaniach: cystynuria, nawrotowa kamica nerkowa i moczowodowa, kamica nerkowa obustronna uwarunkowana genetycznie.
5. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program polityki zdrowotnej w zakresie prewencji i wczesnego wykrywania chorób cywilizacyjnych u dzieci i młodzieży "6-10-14 dla Zdrowia" na lata 2024-2026”.
6. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program polityki zdrowotnej dla mieszkańców Gminy Sławno w zakresie rehabilitacji leczniczej na lata 2023-2027”.
7. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Dofinansowanie do leczenia niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego dla mieszkańców Miasta Przemyśla na lata 2024-2026”.
8. Zakończenie posiedzenia.

Ad 1. Żaden członek Rady nie zadeklarował konfliktu interesów.

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

Ad 2. Analityk Agencji podsumował najważniejsze informacje z raportu w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego Calcort (import docelowy) we wskazaniu: miastenia.

Projekt opinii Rady przedstawił Marcin Kołakowski.

W dyskusji głos zabrali: Janusz Szyndler i Marcin Kołakowski.

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 streścił raport w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Monogen we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt MTP, naczyniakowatość limfatyczna jelita cienkiego.

Projekt stanowiska Rady przedstawił Maciej Karaszewski.

Rada przeprowadziła dyskusję, w której uczestniczyli: Janusz Szyndler, Marcin Kołakowski, Maciej Karaszewski i Dominik Gajewski.

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 zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego Thiola (import docelowy) we wskazaniach: cystynuria, nawrotowa kamica nerkowa i moczowodowa, kamica nerkowa obustronna uwarunkowana genetycznie.

Projekt stanowiska Rady przedstawił Rafał Suwiński.

W dyskusji głos zabrał Janusz Szyndler.

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 „Program polityki zdrowotnej w zakresie prewencji i wczesnego wykrywania chorób cywilizacyjnych u dzieci i młodzieży "6-10-14 dla Zdrowia" na lata 2024-2026”.

W trakcie prezentacji posiedzenie opuścił Tomasz Młynarski.

We wstępnej dyskusji głos zabrali: Marcin Kołakowski, Maciej Karaszewski, Dorota Kilańska i Janusz Szyndler.

Projekt stanowiska Rady przedstawiła Dorota Kilańska.

W dalszej części dyskusji uczestniczyli: Janusz Szyndler, Maciej Karaszewski i Dorota Kilańska.

W związku z brakiem innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 4 do protokołu).

Ad 6. Analityk Agencji omówił program polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program polityki zdrowotnej dla mieszkańców Gminy Sławno w zakresie rehabilitacji leczniczej na lata 2023-2027”.

Projekt opinii Rady przedstawił Dominik Gajewski.

W dyskusji udział wzięli: Maciej Karaszewski, Janusz Szyndler i Dominik Gajewski.

W związku z brakiem innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 7 głosami „za”, przy 2 głosach „przeciw” (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 5 do protokołu).

Ad 7. Analityk Agencji omówił program polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Dofinansowanie do leczenia niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego dla mieszkańców Miasta Przemyśla na lata 2024-2026”.

Projekt opinii Rady przedstawił Jakub Pawlikowski.

W dyskusji głos zabrali: Marcin Kołakowski, Maciej Karaszewski, Janusz Szyndler i Jakub Pawlikowski.

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

Ad 8. Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 12:19.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 127/2023 z dnia 6 listopada 2023 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku
Calcort (deflazakort) we wskazaniu: miastenia

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne wydawanie zgód na refundację leku Calcort (deflazakort), tabletki 6 mg, we wskazaniu miastenia.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Refundacja leku Calcort (deflazakort), tabletki 6 mg, we wskazaniu miastenia sprowadzanego w ramach procedury importu docelowego. Miastenia (ang. myasthenia gravis, łac. myasthenia gravis pseudoparalityca, MG), jest nabytą chorobą autoimmunologiczną, cechującą się występowaniem autoprzeciwciał przeciw białkom złącza nerwowo-mięśniowego – receptorowi acetylocholino (AChR) i receptorowej kinazie tyrozynowej swoistej dla mięśni (ang. muscle, skeletal, receptor tyrosine kinase – MuSK).

Dowody naukowe

Nie wskazano badań spełniających kryteria włączenie do analizy. W poprzednim raporcie nr OT.4311.4.2019 również nie było żadnych badań dotyczących stosowania deflazakortu w miastenii.

Problem ekonomiczny

Szacunkowa cena netto sprzedaży produktu leczniczego Calcort do apteki, zawierająca marżę hurtową, wynosi 119,90 zł za opakowanie 6 mg, 100 tabletek (dane nt. ceny produktu leczniczego pochodzą z raportu ZSMOPL z dnia 13.03.2023 r.). W okresie od 2021 r. do 30 września br. w przedmiotowym wskazaniu dla w/w produktu leczniczego został złożony 1 wniosek o refundację w ramach importu docelowego.

W oparciu o wytyczne kliniczne oraz opinie ekspertów jako technologie alternatywne uznano: prednizon, prednizolon i metyloprednizolon. W ramach importu docelowego we wskazaniu miastenia sprowadzane są: Mestinon (bromek pirydostygminy) oraz Mytelase (chlorek ambenonium). Leki te należą do grupy inhibitorów cholinesterazy, które to stanowią pierwszą linię leczenia objawowego przed włączeniem glikokortykosteroidów, dlatego też nie stanowią komparatorów dla deflazakortu.

Finansowanie produktu leczniczego Calcort u jednego pacjenta w ramach importu docelowego będzie generowało wydatki od 318,89 zł do 389,84 zł, w zależności od przyjętego komparatora. Natomiast wpływ na wydatki płatnika publicznego dla całej wskazanej przez ekspertów populacji wynosi:

- *210 467,82 zł dla wariantu minimalnego,*
- *311 875,50 zł dla wariantu maksymalnego.*

Główne argumenty decyzji

- *brak dowodów naukowych potwierdzających zasadność stosowania w miastenii;*
- *brak rekomendacji wskazujących bezpośrednio na stosowanie deflazakortu w miastenii.*

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 2023 r., poz. 2555 z poz. 826), z uwzględnieniem raportu nr: OT.4211.14.2023 „Calcort (deflazakort) we wskazaniu: miastenia”; data ukończenia opracowania 31 października 2023.



**Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 128/2023 z dnia 6 listopada 2023 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka
spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Monogen
we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt MTP,
naczyniakowatość limfatyczna jelita cienkiego**

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Monogen we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt MTP, naczyniakowatość limfatyczna jelita cienkiego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy zbadanie zasadności wydawania zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Monogen we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt MTP, naczyniakowatość limfatyczna jelita cienkiego. Monogen ma wysoką zawartość średniołańcuchowych kwasów tłuszczowych (MCT) -84%. Monogen był oceniany przez Radę Przejrzystości w 2019 r. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 54/2019 oraz rekomendacja Prezesa nr 52/2019 wydane na podstawie ww. opracowania było pozytywne dla wskazań: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD oraz negatywne dla wskazania: naczyniakowatość limfatyczna jelita cienkiego. Aktualnie zlecenie zostało poszerzone o wskazanie: niedobór mitochondrialnego białka trójfunkcyjnego (deficyt MTP).

We wskazaniu naczyniakowatość limfatyczna jelita cienkiego oceniany był inny środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego zawierający średniołańcuchowe kwasy tłuszczowe: Liquigen . W 2020 r. wydano pozytywne Stanowisko Rady Przejrzystości nr 26/2020 oraz pozytywną Rekomendację Prezesa nr 26/2020 w omawianym wskazaniu.

Dowody naukowe

1. Deficyt LCHAD (ICD-10: E71.3 Zaburzenia przemian kwasów tłuszczowych)

Deficyt dehydrogenazy 3-hydroksyacylo-koenzymu A długołańcuchowych kwasów tłuszczowych (niedobór LCHAD, ang. long-chain 3-hydroxyacyl-coenzyme A dehydrogenase deficiency, LCHAD deficiency) należy w populacji

polskiej do najczęściej ujawniających się klinicznie zaburzeń procesu oksydacji kwasów tłuszczowych. Białko o aktywności 3-hydroksyacylo-CoA długołańcuchowych kwasów tłuszczowych jest częścią białka trójfunkcyjnego MTP, związanego z wewnętrzną błoną mitochondrialną, które katalizuje trzy kolejne reakcje w procesie beta-oksydacji kwasów tłuszczowych. Częstość występowania deficytu LCHAD oceniono na 0,8/10 000 na terenie UE, a w Polsce 1/120000 urodzeń.

2. Deficyt VLCAD (ICD-10: E71.3 Zaburzenia przemian kwasów tłuszczowych)

Deficyt dehydrogenazy acylo-CoA kwasów tłuszczowych o bardzo długim łańcuchu (ang. very long chain fatty acyl-CoA dehydrogenase deficiency – VLCAD) należy do grupy zaburzeń zużytkowania wolnych kwasów tłuszczowych spowodowanych upośledzeniem ich utleniania wewnątrzmitochondrialnego (zaburzenia β -oksydacji kwasów tłuszczowych). Szacuje się, iż częstość występowania deficytu VLCAD wynosi ok. 1/40 000 do 1/110 000 żywych urodzeń.

3. Deficyt MTP (niedobór mitochondrialnego białka trójfunkcyjnego) ICD-10: E71. 3 – Zaburzenia metabolizmu kwasów tłuszczowych

Niedobór mitochondrialnego białka trójfunkcyjnego (ang. mitochondrial trifunctional protein deficiency) jest zaburzeniem beta-oksydacji kwasów tłuszczowych charakteryzującym się szerokim spektrum klinicznym od ciężkich objawów występujących już w okresie noworodkowym, obejmujących m.in. kardiomiopatię, hipoglikemię, kwasicę metaboliczną, miopatię mięśni szkieletowych, neuropatię, choroby wątroby i zgon, do łagodnego fenotypu z polineuropatią obwodową, epizodami rabdomiolizy i zwyrodnieniem barwnikowym siatkówki.

W literaturze opisano mniej niż 100 przypadków deficytu MTP.

Rekomendacje brytyjskie BIMDG 2020, amerykańskie van Calcar 2020, SERN i GMDI 2019, polskie Zalecenia dietetyczne w pediatrii 2019 i europejskie Spiekerkoetter 2009 zalecają w terapii zaburzeń oksydacji długołańcuchowych kwasów tłuszczowych (deficyt LCHAD, deficyt VLACD oraz deficyt MTP) ograniczenie podaży długołańcuchowych kwasów tłuszczów oraz stosowanie suplementacji MCT (średniołańcuchowe kwasy tłuszczowe). Wśród specjalnych mieszanek zawierających MCT większość odnalezionych wytycznych (BIMDG 2020, Zalecenia dietetyczne w pediatrii 2019, Spiekerkoetter 2009) wymienia m.in. preparat Monogen, do stosowania u pacjentów w ww. wskazaniach.

4. Naczyniakowatość limfatyczna jelita cienkiego (ICD-10: I89.0 Obrzęk chłonny niesklasyfikowany gdzie indziej (Limfangiektazja))

Wrodzony zespół naczyniakowatości jelita cienkiego (WZNLI, in. choroba Waldmanna) jest to zlokalizowana lub uogólniona choroba naczyń limfatycznych, często związana z patologią układu chłonnego w dowolnej lokalizacji w organizmie. W zespole utrudniony jest przepływ chłonki przez

pierwotnie uszkodzone naczynia limfatyczne, co prowadzi do zaburzeń wchłaniania pochodzących z pożywienia witamin rozpuszczalnych w tłuszczach oraz lipidów zawierających długołańcuchowe kwasy tłuszczowe, a z powodu utraty białka pojawiają się obrzęki. Choroba dotyczy przede wszystkim dzieci, na ogół diagnozowana jest przed ukończeniem 3 r.ż., ale dotyczy także młodzieży i dorosłych.

Odnaleziono jedynie jeden opis przypadku pacjenta stosującego preparat Monogen z rozpoznaniem naczyniakowatości limfatycznej jelita cienkiego (Hasosa 2019). W pozostałych odnalezionych publikacjach (Prajapati 2022 oraz Khayat 2021, Niu 2021) nie wskazano, jakie preparaty MCT stosowali pacjenci. W badaniu retrospektywnym Niu 2021 przeanalizowano dokumentację medyczną 10 pacjentów. U 8 pacjentów zastosowano dietę z suplementacją MCT oraz dodatkowo wlewy albumin u 50%. Stan kliniczny dzieci uległ poprawie, w tym odnotowano poprawę odżywienia. U jednego pacjenta możliwe było zastosowanie zwykłej diety, ze względu na brak objawów żołądkowo-jelitowych. Do badania retrospektywnego Prasad 2019 włączono 28 pacjentów. U wszystkich pacjentów zastosowano dietę wysokobiałkową i niskotłuszczową (z czego około 60% kalorii pochodziło z MCT). U 24 pacjentów odnotowano poprawę podczas średniego okresu obserwacji wynoszącego 39 mies., 4 pacjentów utracono podczas obserwacji, a jeden zmarł. U 8 pacjentów nastąpił nawrót i wymagali ponownej hospitalizacji, wśród przyczyn podano nieprzestęganie zaleceń dietetycznych (6 pacjentów) oraz powikłania (2 pacjentów).

Problem ekonomiczny

Ze względu na to, że śsspż Monogen stosowany jest jako uzupełnienie diety w różnych wskazaniach u chorych w różnym wieku, co bezpośrednio przekłada się na jego dawkowanie, nie jest możliwe wiarygodne oszacowanie kosztu miesięcznej/rocznej terapii. Także prognozowane całkowite roczne wydatki płatnika publicznego są niemożliwe do wiarygodnego oszacowania, ze względu na trudności w oszacowaniu wielkości populacji pacjentów, którzy będą wnioskować o sprowadzenie śsspż Monogen w ramach importu docelowego. Wg danych przekazanych wraz ze zleceniem MZ w okresie styczeń 2022 – sierpień 2023 r. wydano zgody na refundację produktu Monogen dla 35 pacjentów w analizowanych wskazaniach, a łączna kwota zgód na refundację wyniosła ok. 2,24 mln zł. Uwzględniając dane dot. maksymalnej obecnej liczebności pacjentów we wnioskowanych wskazaniach na podstawie opinii ekspertów średni roczny koszt stosowania śsspż Monogen wyniesie: 5,50 – 5,59 mln zł (153–155 pacjentów).

Główne argumenty decyzji

Dostępne wytyczne kliniczne, dowody naukowe oraz dotychczasowe stanowiska Rady Przejrzystości wskazują na skuteczność stosowania oraz środków specjalnego przeznaczenia spożywczego zawierających MCT we wszystkich wyżej wymienionych wskazaniach.

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 2023 r., poz. 2555 z poz. 826), z uwzględnieniem raportu nr: OT.4211.18.2023; „Monogen we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt MTP, naczyniakowatość limfatyczna jelita cienkiego”; data ukończenia 2 listopada 2023, który jest aneksem do raportu nr: OT.4311.6.2019



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 129/2023 z dnia 6 listopada 2023 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku
Thiola (tiopronina) we wskazaniach: cystynuria, nawrotowa
kamica nerkowa i moczowodowa, kamica nerkowa
obustronna uwarunkowana genetycznie

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację leku Thiola (tiopronina) we wskazaniach: cystynuria, nawrotowa kamica nerkowa i moczowodowa, kamica nerkowa obustronna uwarunkowana genetycznie pod warunkiem braku możliwości importu produktu leczniczego Captimer (tiopronina).

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Zlecenie dotyczy produktu leczniczego Thiola (tiopronina), tabletki 250 mg, opakowanie á 100 tabletek. Rada oceniała 2020 i 2013 roku lek z substancją czynną tiopronina, tj. produkt leczniczy Captimer. Zarówno Rada Przejrzystości, jak i Prezes Agencji uznali za zasadne wydawanie zgód na refundację leku Captimer (tiopronina) we wskazaniach: cystynuria, nawrotowa kamica nerkowa i moczowodowa oraz kamica nerkowa obustronna uwarunkowana.

Dowody naukowe

Odnaleziono 2 przeglądy systematyczne spełniające kryteria włączenia i opublikowane po dacie przeglądu systematycznego przeprowadzonego w 2020 roku. Są to przeglądy Ripa 2023 oraz Melessen 2020. Do przeglądu Ripa 2023 włączono 1 badanie dotyczące oceny tioproniny, w którym oceniano tioproninę: stosowaną w skojarzeniu z cytrynianem potasu. W badaniu tym nie zareportowano żadnych zdarzeń niepożądanych związanych ze stosowaniem tioproniny lub cytrynianu potasu. Zarówno wydalanie cytrynianu potasu z moczem, jak i pH moczu znacznie wzrosły w okresie obserwacji, a u 66,7% kohorty badanych pacjentów nie występowały żadne kolejne kamienie. W przeglądzie Melessen 2020 uwzględniono 8 badań dotyczących tioproniny. Wszystkie badania wykazały korzystny wpływ farmakoterapii dodanej do nawadniania, alkalizacji i diety ubogiej w metioninę na SE (Stone Events) i UCE

(Urinary Cystine Excretion). Terapia tioproniną spowodowała poprawę w zakresie SE i UCE we wszystkich badaniach.

Problem ekonomiczny

Szacunkowa cena sprzedaży produktu leczniczego Thiola (tiopronina) wynosi 13.756,22 zł za opakowanie 250 mg, 100 tabletek. W okresie styczeń 2022 r. – sierpień 2023 r. wydano zgody na refundację 241 opakowań produktu leczniczego Thiola dla 14 pacjentów. Aktualny wpływ na wydatki płatnika publicznego finansowania produktu leczniczego Thiola wynosi ok. 2 mln zł w skali roku.

Średni koszt jednego opakowania preparatu Captimer (tiopronina) tabletki 250 mg, 100 tabletek wynosił 405,5 zł netto. Preparat Thiola zawierający tę samą ilość substancji czynnej tiopronina co Captimer jest, zatem, znacznie droższy. Stanowi to przesłankę dla uzależnienia zasadności wydawania zgód na refundację preparatu Thiola od braku dostępności preparatu Captimer.

Analitycy Agencji nie odnaleźli informacji, czy lek Captimer (tiopronina) jest nadal dostępny i czy możliwy byłby jego import.

Główne argumenty decyzji:

- dowody naukowe dokumentujące skuteczność i bezpieczeństwo leczenia tioproniną w omawianych wskazaniach;
- rekomendacje kliniczne zalecające stosowanie tioproniny w omawianych wskazaniach;
- pozytywne opinie krajowych ekspertów;
- niższy koszt leczenia preparatem Captimer (tiopronina) stanowi przesłankę dla uzależnienia zasadności wydawania zgód na refundację preparatu Thiola od braku dostępności preparatu Captimer.

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 2023 r., poz. 2555 z poz. 826), z uwzględnieniem raportu nr: OT.4211.19.2023 „Thiola (tiopronina) we wskazaniach: cystynuria, nawrotowa kamica nerkowa i moczowodowa, kamica nerkowa obustronna uwarunkowana genetycznie”; data ukończenia opracowania 2 listopada 2023, będącego aneksem do raportu nr. OT.4311.9.2020



Opinia Rady Przejrzystości
nr 179/2023 z dnia 6 listopada 2023 roku
o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej w zakresie
prewencji i wczesnego wykrywania chorób cywilizacyjnych u dzieci
i młodzieży „6-10-14 dla Zdrowia” na lata 2024-2026”
realizowany przez Miasto Gdańsk

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej w zakresie prewencji i wczesnego wykrywania chorób cywilizacyjnych u dzieci i młodzieży „6-10-14 dla Zdrowia” na lata 2024- 2026” realizowany przez Miasto Gdańsk, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest projekt programu polityki zdrowotnej zaplanowany do realizacji przez miasto Gdańsk, zakładający: działania edukacyjne, badania antropometryczne oraz interwencje specjalistyczne, w tym konsultacje lekarskie, dietetyczne, psychologiczne oraz aktywność fizyczną. Program zawiera rekomendowane przez UPSTF 26 godzin interwencji edukacyjnych prowadzonych przez zespół multiprofesjonalny oraz przygotowanie planu postępowania dla beneficjentów programu.

Głównym założeniem projektu programu jest „zmniejszenie częstości występowania nadwagi i otyłości w populacji dzieci i młodzieży między 6 a 14 rokiem życia zamieszkałych w Gdańsku lub uczęszczających do gdańskich szkół, włączonych do programu przez objęcie dzieci i ich rodzin kompleksową interwencją edukacyjno-zdrowotną w okresie realizacji”. W celu nie podano o ile będzie zmniejszona częstotliwość występowania nadwagi i otyłości, nie określono również rozróżnienia dotyczącego nadwagi i otyłości. Wskaźnik ten został określony na poziomie 2% w opisie programu. Nie wszystkie cele szczegółowe zostały poprawnie określone, tak więc ich realizacja może nie wspierać osiągnięcia celu głównego.

Populację docelową programu stanowić będą „wszystkie dzieci i młodzież z gminy miasta Gdańska spełniające przedstawione w treści projektu kryteria kwalifikacji”. Kryteria kwalifikacji do programu, to: wiek uczestnika 6, 10 lat (lub uczeń klasy III), 14 lat (lub uczeń klasy VII)); uczęszczanie do placówek oświatowych w Gdańsku lub zamieszkanie na terenie Gdańska; uzyskanie zgody

uczestnika i/lub rodzica/opiekuna prawnego na udział w programie. Dodatkowo kryterium włączenia do części specjalistycznej stanowić będzie zidentyfikowany u dziecka nadmiar masy ciała, w postaci BMI powyżej 90 (wg OLAF). Wnioskodawca zaplanował dwa etapy interwencji: etap I – badania przesiewowe (w tym pomiary antropometryczne); etap II – działania specjalistyczne konsultacje lekarskie (w tym badania laboratoryjne), konsultacje dietetyczne, psychologiczne, ze specjalistą aktywności fizycznej oraz działania edukacyjne. Nie wskazano jednak narzędzi, które będą mogły wskazać efektywność zaplanowanych interwencji.

Nadwaga i otyłość (według WHO), to nieprawidłowa lub nadmierna akumulacja tłuszczu, która stanowi zagrożenie dla zdrowia ludzkiego; przewlekła choroba metaboliczna wynikająca z zaburzeń homeostazy energii. Jest jedną z głównych przyczyn chorobowości i umieralności w krajach o średnim i wysokim rozwoju cywilizacyjnym. Badania pokazały, że w roku 2018 rozpowszechnienie zbyt wysokiej masy ciała wśród badanych uczniów (wg International Obesity Task Force) było wyższe o prawie 2 punkty procentowe niż cztery lata wcześniej. Największa zmiana dotyczyła chłopców w wieku 13-14 lat. Wzrost rozpoznania otyłości u dziewcząt obserwuje się we wszystkich kategoriach wieku.

Rekomendacje wskazują: na zapewnienie, w promowaniu zdrowego odżywiania i aktywności fizycznej, edukacji i wsparcia społecznego rodzicom/opiekunom; liczbę interwencji zgodnie z indywidualnymi potrzebami przez co najmniej jeden miesiąc (poziom dowodów Ia); edukację zindywidualizowaną, prowadzoną po rozpoznaniu: potrzeb, gotowości do zmiany, statusu fizycznego i psychicznego (poziom dowodów Ia) (RNAO 2014).

Rekomenduje się, aby interwencje ukierunkowane na: zapobieganie nadmiernemu przyrostowi masy ciała, poprawę diety oraz poziomu aktywności fizycznej u dzieci i młodzieży powinny aktywnie angażować ich rodziców oraz opiekunów (ES 2017, MoH NZ 2016, NICE 2015a, NICE 2015b). Edukacja kierowana do rodziców powinna podkreślać znaczenie roli modelowania przez nich zachowań zdrowotnych (dieta, ćwiczenia) oraz kontroli rodzicielskiej (MQIC 2018). Ponadto multidyscyplinarny zespół specjalistów powinien obejmować dietetyków, psychiatrów, pielęgniarki (ES 2017), a także pediatrów, psychologów oraz specjalistów w dziedzinie zdrowia i promowania aktywności fizycznej (ISPED, ISP 2018).

Badania wskazują także, że skuteczna edukacja powinna być wdrażana przez coacha zdrowia, przeszkolonego z zakresu motywowania do zmiany zachowań i wzmocnienia pozytywnych postaw z wykorzystaniem różnorodnych technik zwiększających efektywność edukacji, jak: kontakt bezpośredni, sms, telefony, chat z klientem, rozmowy telefoniczne oraz wspierana przez przeszkolonych profesjonalistów (interprofesjonalny zespół) (poziom dowodów Ia). „Złoty standard” dla interwencji edukacyjnej, to: działania w oparciu o model zmiany

zachowań „5 A” (poziom dowodów Ia), ocena obecności stanu depresyjnego (UPSTF-2) i stopnia gotowości do podejmowania decyzji co do zmiany zachowania (poziom dowodów Ia), zwiększanie „skuteczności własnej” poprzez wspólne wyznaczanie celów zdrowotnych (poziom dowodów Ia), przygotowanie interprofesjonalnego kompleksowego planu opieki (poziom dowodów Ib), pracę z wykorzystaniem techniki „zamykania pętli” (poziom dowodów Ia), czy „zapytaj-powiedz-zapytaj”(poziom dowodów Ia).

Wnioskodawca nie zaplanował przygotowania protokołu edukacyjnego (przewodnika) (poziom dowodów Ia), na podstawie którego realizowana będzie edukacja. Budzi to niepewność co do spójności przekazywanych treści. Zaplanowano przeprowadzenie pre- i post-testów pozwalających na weryfikację wzrostu wiedzy uczestników. Do programu nie dołączono kwestionariuszy, na podstawie których dokonana będzie ocena przyrostu wiedzy.

Przedstawiono kryteria włączenia i wyłączenia do projektu.

Program ma być realizowany w latach 2024-2026. Planowane koszty całkowite zostały oszacowane na kwotę 5 580 000 (1 860 000 zł rocznie). Nie oszacowano kosztów jednostkowych dla poszczególnych konsultacji specjalistycznych oraz kosztów związanych z monitorowaniem i ewaluacją Program finansowany będzie z budżetu miasta Gdańsk.

Uwagi Rady

- konieczne przedstawienie propozycji przewodnika edukacyjnego;
- konieczne przedstawienie kwestionariuszy, na których będzie dokonywana ocena przyrostu wiedzy;
- konieczne przedstawienie kosztów jednostkowych dla poszczególnych konsultacji specjalistycznych oraz kosztów związanych z monitorowaniem i ewaluacją;
- konieczne ograniczenie liczby badań laboratoryjnych do jednokrotnej oceny w sytuacji stwierdzenia nadwagi i objawów klinicznych sugerujących wystąpienie choroby związanej z otyłością (ewentualne dalsze leczenie w ramach opieki specjalistycznej)
- wskazane jest zaprezentowanie w raporcie końcowym programu szczegółowych wskaźników dotyczących wykrywalności chorób cywilizacyjnych oraz liczby uczestników objętych opieką specjalistyczną poza programem.

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 zdrowotnej nr: OT.431.69.2023 „Program polityki zdrowotnej w zakresie prewencji i wczesnego wykrywania chorób cywilizacyjnych u dzieci i młodzieży „6-10-14 dla Zdrowia” na lata 2024-2026” realizowany przez miasto Gdańsk; data ukończenia październik 2023, oraz Aneksu do raportów szczegółowych nr. OT.423.2.2018 „Profilaktyka nadwagi oraz otyłości wśród dzieci i młodzieży w ramach programów polityki zdrowotnej” z kwietnia 2019 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 180/2023 z dnia 6 listopada 2023 roku
o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej dla mieszkańców
gminy Sławno w zakresie rehabilitacji leczniczej na lata 2023-2027”
realizowany przez Gminę Sławno

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej dla mieszkańców gminy Sławno w zakresie rehabilitacji leczniczej na lata 2023-2027” realizowany przez Gminę Sławno, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady oraz uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest projekt programu polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej zaplanowany do realizacji przez gminę Sławno. Do programu będą włączeni mieszkańcy Gminy Sławno (dorośli i dzieci) z rozpoznaniem choroby przewlekłej lub zapalnej układu kostno-stawowego i mięśniowego urazu lub choroby obwodowego układu nerwowego. Programem ma zostać objęte 500 osób rocznie. Program ma być realizowany w latach 2023- 2027. Roczny koszt realizacji oszacowano na 374 400 zł.

Odnosząc się do celu głównego wnioskodawca wskazał, że „zakłada się, iż realizacja kompleksowych działań edukacyjnych i rehabilitacyjnych na terenie Gminy Sławno umożliwi powrót do sprawności co najmniej 10 % uczestników projektu w obszarach, u których wykryto zaburzenia funkcjonowania”. 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 został sformułowany w sposób nieprawidłowy. Należy zaznaczyć, że określenie „powrót do sprawności” jest bardzo ogólnym sformułowaniem, co utrudnia dobór mierników efektywności. Warto również podkreślić, że nie wskazano uzasadnienia dla podanej wartości docelowej.

Cel szczegółowy nr 1 odnosi się do zmniejszenia natężenia dolegliwości bólowych i wydaje się możliwy do osiągnięcia poprzez realizację przewidzianych w projekcie działań rehabilitacyjnych. Wskazana w projekcie skala VAS umożliwia ocenę skuteczności leczenia przeciwbólowego, co pozwoli na ocenę efektywności działań fizjoterapeutycznych w programie. Cel szczegółowy nr 2 dot. wzrostu motywacji jest w istocie niemierzalny. Cele szczegółowe nr 3 i 4

zostały sformułowane w sposób nieprawidłowy. Należy zaznaczyć, że nie zaplanowano także obiektywnych narzędzi i skal pozwalających na ocenę poprawy wymienionych parametrów. Cel szczegółowy nr 5 dotyczy zwiększenia poziomu wiedzy uczestników PPZ. Należy zaznaczyć, że możliwy byłby wzrost wiedzy w związku z wdrażanymi działaniami edukacyjnymi oraz pomiar tego wzrostu za pomocą pre- i post-testów, jednak pomiary te nie zostały uwzględnione w ocenianym projekcie. Warto podkreślić, że prawidłowo zaplanowana akcja edukacyjna powinna zakończyć się wzrostem lub utrzymaniem wysokiego poziomu wiedzy u wszystkich osób uczestniczących w programie.

Wnioskodawca przedstawił kryteria włączenia do programu, tj.: zamieszkiwanie w Gminie Sławno; posiadanie skierowania na zabiegi rehabilitacyjne wydane przez lekarza POZ, lekarza specjalistę lub fizjoterapeutę określające rodzaj i liczbę zaplanowanych zabiegów, stan zdrowia umożliwiający podjęcie rehabilitacji w trybie ambulatoryjnym.

Wnioskodawca wymienił kryteria wyłączenia z projektu, które obejmują: brak stosownego skierowania za zabiegi rehabilitacyjne, brak meldunku na terenie Gminy Sławno; wcześniejsze skorzystanie ze wskazanych świadczeń rehabilitacyjnych finansowanych ze środków publicznych (PFRON, ZUS, KRUS, NFZ).

Plan rehabilitacji został dostosowany do potrzeb wynikających ze stanu chorego, zakresu potrzebnej pomocy fizjoterapeutycznej, kompleksowości, wczesności i ciągłości procesu rehabilitacji (KK w dziedzinie rehabilitacji medycznej).

Odniesiono się do sposobu zakończenia udziału w PPZ.

Projekt zawiera opis etapów i działań podejmowanych w ramach programu.

Należy podkreślić, że wszystkie zaplanowane przez wnioskodawcę interwencje fizykoterapeutyczne i kinezyterapeutyczne znajdują się w wykazie świadczeń gwarantowanych z zakresu rehabilitacji leczniczej zgodnie z Rozporządzeniem Ministra Zdrowia z dnia 6 listopada 2013 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu rehabilitacji leczniczej (Dz.U. 2021 poz. 265 z późn. zm.).

Zgodnie z informacjami odnalezionymi przez analityka, na terenie gminy Sławno nie funkcjonuje żaden świadczeniodawca udzielający świadczeń z zakresu rehabilitacji leczniczej.

Uwagi Rady:

- należy przeformułować cel główny i cele szczegółowe ze wskazaniem oczekiwanych wartości docelowych;
- nie podano sposobu oszacowania wielkości populacji docelowej;

- *należy opisać w sposób bardziej szczegółowy wszystkie zaplanowane interwencje (zwłaszcza działania edukacyjne)*
- *należy opisać metody oceny skuteczności działań edukacyjnych (z uwzględnieniem pre- i post-testu);*
- *należy przedstawić opis akcji informacyjnej;*
- *należy wskazać całkowity kosztu programu oraz wydatki w poszczególnych latach;*
- *należy wskazać szczegółowe oszacowanie kosztów poszczególnych zabiegów.*

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 „Program polityki zdrowotnej dla mieszkańców gminy Sławno w zakresie rehabilitacji leczniczej na lata 2023-2027” realizowany przez Gminę Sławno; data ukończenia raportu: 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 181/2023 z dnia 6 listopada 2023 roku

o projekcie programu „Dofinansowanie do leczenia niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego dla mieszkańców miasta Przemysła na lata 2024-2026” realizowany przez Miasto Przemysł

Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Dofinansowanie do leczenia niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego dla mieszkańców miasta Przemysła na lata 2024-2026” realizowany przez Miasto Przemysł.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest projekt programu polityki zdrowotnej przesłany przez miasto Przemysł w zakresie leczenia niepłodności. Program zakłada przeprowadzenie procedury zapłodnienia pozaustrojowego u ok. 25 par, w których wiek kobiety wynosi 20-40 lat, zamieszkujących na terenie miasta Przemysł, ze stwierdzoną niepłodnością kobiety i/lub mężczyzny, u których wyczerpały się inne możliwości leczenia. Koszt całkowity oszacowano na 304 500 zł, co obejmuje dofinansowanie na poziomie ok. 80% kosztów ponoszonych przez parę w trakcie realizacji programu. W programie uwzględniono również możliwość szybkiej kwalifikacji par ze schorzeniem wymagającym leczenia gonadotoksycznego np. z powodu terapii przeciwnowotworowej, w celu zachowania płodności do mrożenia gamet lub zarodków w wieku od 18 do 38 roku życia.

Wnioskodawca opisał sytuację demograficzną, określił kryteria medyczne i formalne kwalifikacji do programu, budżet całkowity i jednostkowy, cele i wskaźniki efektywności, monitorowania i ewaluacji oraz wskazał zasady finansowania w trakcie i po zakończeniu programu (m. in. wyraźnie określił, że koszty leków oraz koszty przechowywania zarodków i komórek jajowych po okresie opisanym w programie ponoszą pacjenci).

Należy jednak zwrócić uwagę na wady programu, które wymagają poprawienia:

- istnieje poważne ryzyko nieuprawnionego przetwarzania danych wrażliwych o zdrowiu w związku z wymogiem zatwierdzenia wniosku o udziale w programie przez Urząd Miasta Przemysł; spełnienie tego warunku oznacza ujawnienie władzom miasta danych wrażliwych dotyczących stanu zdrowia seksualnego uczestników programu;*

- *wnioskodawca nie zapewnia możliwości kriokonserwacji komórek jajowych w przypadku wyrażenia przez parę chęci ograniczenia liczby kriokonserwowanych zarodków lub wystąpienia nieprzewidzianego braku plemników;*
- *nie uwzględniono w kryteriach monitorowania i ewaluacji programu liczby kriokonserwowanych zarodków powstałych w trakcie jego realizacji;*
- *budżet programu pozwala na pokrycie kosztów związanych z przeprowadzeniem 3 procedur zapłodnienia pozaustrojowego u 20, a nie 25 par (tj. populacji docelowej wskazanej przez wnioskodawcę);*
- *nie jest jasne, czy opieka psychologiczna zostanie uwzględniona w interwencjach w ramach programu;*
- *należy wskazać sposoby postępowania z kriokonserwowanymi zarodkami na wypadek zakończenia działalności biobanku oraz po upływie 20 lat ustawowego obowiązku kriokonserwacji;*
- *nie odniesiono się do aktualnej mapy potrzeb zdrowotnych na lata 2022- 2026;*
- *należy uwzględnić uwagi zawarte w raporcie AOTMiT dotyczące celu głównego, celów szczegółowych, mierników efektywności i działań edukacyjnych, w tym sposobu weryfikacji przyrostu 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.431.70.2023 „Dofinansowanie do leczenia niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego dla mieszkańców Miasta Przemysła na lata 2024-2026” realizowany przez Miasto Przemysł; data ukończenia raportu październik 2023 oraz Aneksu do raportów szczegółowych „Programy z zakresu diagnostyki i leczenia niepłodności – wspólne podstawy oceny” z czerwca 2022 r.