



BP.401.20.2024.PP

**Protokół z posiedzenia
Rady Przejrzystości 25/2024
w dniu 10 czerwca 2024 roku**

Maciej Karaszewski otworzył posiedzenie o godzinie 10:00.

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

1. Paweł Grzesiewski
2. Maciej Karaszewski
3. Marcin Kołakowski
4. Ewa Obuchowicz
5. Jacek Rubik
6. Zbigniew Siudak
7. Anna Socha-Banasiak
8. Małgorzata Sznitowska
9. Aleksandra Zasada

Członkowie Rady Przejrzystości nieobecni na posiedzeniu:

1. Artur Bachta

Proponowany porządek obrad:

1. Omówienie powiązań branżowych i ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Akeega (niraparyb + abirateron) w ramach programu lekowego B.56 „Leczenie chorych na raka gruczołu krokowego”.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Nucala (mepolizumabum) we wskazaniu: leczenie chorych na przewlekłe zapalenie zatok przynosowych z polipami nosa.
4. Przygotowanie opinii o projekcie „Regionalny Program Zdrowotny w zakresie opracowania wskazówek i zaleceń do pracy z dzieckiem od 18 mies. ż. do 17 r.ż. z zaburzeniami ze spektrum autyzmu w środowisku domowym”.
5. Zakończenie posiedzenia.

Ad 1. Żaden z członków Rady nie zgłosił konfliktu interesów. Rada jednogłośnie (9 głosów „za”) przyjęła porządek obrad.

Ad 2. Analityk Agencji omówił raport w sprawie oceny leku Akeega (niraparyb + abirateron) w ramach programu lekowego B.56 „Leczenie chorych na raka gruczołu krokowego”.

Rada wysłuchała opinii przedstawiciela pacjentów.

We wstępnej dyskusji udział wzięli: Małgorzata Sznitowska, Ewa Obuchowicz, Jacek Rubik, Marcin Kołakowski.

Projekt stanowiska Rady przedstawił Maciej Karaszewski.

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym uczestniczyli: Marcin Kołakowski, Ewa Obuchowicz.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 głosami „za”) uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 1 do protokołu).

Ad 3. Analityk Agencji zaprezentował najważniejsze informacje z raportu w sprawie oceny leku Nucala (mepolizumabum) we wskazaniu: leczenie chorych na przewlekłe zapalenie zatok przynosowych z polipami nosa.

We wstępnej dyskusji udział wzięli: Małgorzata Sznitowska, Maciej Karaszewski, Ewa Obuchowicz.

Projekt stanowiska Rady przedstawiła Anna Socha-Banasiak.

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym udział wzięli: Marcin Kołakowski, Maciej Karaszewski, Małgorzata Sznitowska, Jacek Rubik, Ewa Obuchowicz, Aleksandra Zasada.

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

Ad 4. Analityk Agencji zaprezentował najważniejsze informacje z opracowania „Regionalny Program Zdrowotny w zakresie opracowania wskazówek i zaleceń do pracy z dzieckiem od 18 mies. ż. do 17 r.ż. z zaburzeniami ze spektrum autyzmu w środowisku domowym”.

We wstępnej dyskusji udział wzięli: Maciej Karaszewski, Ewa Obuchowicz, Małgorzata Sznitowska.

Projekt opinii Rady przedstawiła Paweł Grzesiewski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 3 do protokołu).

Ad 5. Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 12:12.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 53/2024 z dnia 10 czerwca 2024 roku
w sprawie oceny leku Akeega (niraparyb + octan abirateronu)
w ramach programu lekowego B.56. „Leczenie chorych na raka
gruczołu krokowego (ICD-10: C61)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktów leczniczych:

- *Akeega (niraparyb + abirateron), tabletki powlekane, 100 mg/500 mg, 56, tabl., GTIN: 05413868122459;*
- *Akeega (niraparyb + abirateron), tabletki powlekane, 50 mg/500 mg, 56, tabl., GTIN: 05413868122442;*

w ramach programu lekowego B.56. „Leczenie chorych na raka gruczołu krokowego (ICD-10: C61)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Wniosek dotyczy objęcia refundacją produktu leczniczego Akeega (niraparyb + abirateron) w ramach programu lekowego B.56. „Leczenie chorych na raka gruczołu krokowego (ICD-10: C61)” w leczeniu dorosłych pacjentów z opornym na kastrację rakiem gruczołu krokowego z przerzutami (mCRPC) i mutacjami genów BRCA 1/2 (germinalną i/lub somatyczną). Technologia nie była oceniana dotychczas przez Agencję. Zgodnie z programem lekowym B.56. „Leczenie chorych na raka gruczołu krokowego (ICD-10: C61)” refundowane są: apalutamid, darolutamid, enzalutamid, olaparyb oraz kabazytaksel. W leczeniu opornego na kastrację raka gruczołu krokowego z przerzutami (mCRPC) stosowany jest enzalutamid albo kabazytaksel albo olaparyb. W ramach chemioterapii refundowany jest octan abirateron u pacjentów z mCRPC.

Dowody naukowe

Odnaleziono jedno główne badanie pierwotnego dla porównania NIR+AAP (niraparyb + abirateron) vs AAP(abirateron)– badania MAGNITUDE.

Wyniki

- nie odnotowano istotnych statystycznie różnic w zakresie przeżycia całkowitego, definiowanego jako czas od randomizacji do zgonu z dowolnej przyczyny, w populacji pacjentów z mutacją BRCA,

- w grupie przyjmującej NIR+AAP w porównaniu do grupy przyjmującej PBO+AAP, wykazano istotne statystycznie niższe ryzyko wystąpienia radiograficznej progresji choroby [HR (95% CI): 0,53 (0,36; 0,79), $p = 0,0014$],
- w grupie przyjmującej NIR+AAP w porównaniu do grupy przyjmującej PBO+AAP, odnotowano niższe ryzyko wystąpienia czasu do progresji objawów; czasu do rozpoczęcia chemioterapii cytostatykami (z wyjątkiem pierwszej analizy interim) i czasu do progresji PSA,
- nie odnotowano różnic w zakresie punktów końcowych związanych z jakością życia między analizowanymi grupami.

W grupie NIR+AAP w porównaniu do PBO+AAP odnotowano istotne statystycznie zwiększenie ryzyka wystąpienia zdarzeń niepożądanych ogółem: RR = 1,03 (95% CI: 1,00; 1,06), $p = 0,0229$, NNH = 36, a także ciężkich zdarzeń niepożądanych (SAEs): RR = 1,53 (95% CI: 1,20; 1,96), $p = 0,0007$, NNH = 7. Znamienne statystycznie częściej w grupie NIR+AAP raportowano zdarzenia niepożądane w trakcie leczenia (TEAEs) związane z leczeniem, odpowiednio RR = 1,36 (95% CI: 1,18; 1,56), $p < 0,0001$, NNH = 5.

TEAEs w grupie interwencji istotnie częściej prowadziły do redukcji dawki leku: RR = 5,35 (95% CI: 2,58; 11,10), $p < 0,0001$, NNH = 7, czasowego wstrzymania leczenia, RR = 1,81 (95% CI: 1,41; 2,32), $p < 0,0001$, NNH = 5, lub trwałego zakończenia leczenia: RR = 2,77 (95% CI: 1,55; 4,95), $p = 0,0006$, NNH = 9. Najczęstszymi AEs skutkującymi czasowym przerwaniem leczenia lub redukcją dawki NIR/PBO była niedokrwistość oraz inne schorzenia hematologiczne (małopłytkowość i neutropenia).

Nie zaobserwowano istotnych statystycznie różnic pomiędzy analizowanymi grupami w częstości występowania zgonów w trakcie leczenia, natomiast zgony spowodowane TEAEs ogólnie raportowano istotnie statystycznie częściej w grupie NIR+AAP w porównaniu do PBO+AAP, RR = 2,19 (95% CI: 1,06; 4,51), $p = 0,0336$, NNH = 18.

W wytycznych wskazuje się, że u pacjentów z mCRPC bez wskazań do zastosowania chemioterapii w I linii leczenia, można zastosować: octan abirateronu, enzalutamid, 177lutetium-PSMA-617, rad-223, sipuleucel-T oraz u pacjentów ze zmianami w DNA w zakresie naprawy metodą rekombinacji homologicznej olaparyb, olaparyb+abirateron, niraparyb+abirateron, rukaparyb, talazoparyb/enzalutamid. Natomiast w II linii leczenia wymienia się możliwość zastosowania: octan abirateronu, enzalutamid, rad-223 i olaparyb w przypadku mutacji HRR.

Możliwość zastosowania NIR+AAP w omawianej populacji pacjentów wymieniono w wytycznych: EAU 2024 i NCCN 2024.

Problem ekonomiczny

Technologia nie jest efektywna kosztowo, koszt za 1 QALY znacznie przekracza próg ustawowy.

Główne argumenty decyzji

- *Brak wpływu na przeżycie całkowite w stosunku do komparatorów.*
- *Brak efektywności kosztowej.*
- *Wyższa toksyczność od komparatora (octan abirateronu).*
- *Nie odnaleziono badań bezpośrednio porównujących ocenianą interwencję (niraparyb + AAP) z pozostałymi komparatorami (enzalutamid, olaparyb w monoterapii).*

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2023 r., poz. 826 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 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OT.423.1.17.2024 „Wniosek o objęcie refundacją leku Akeega (niraparyb + octan abirateronu) w ramach programu lekowego B.56. »Leczenie chorych na raka gruczołu krokowego (ICD-10: C61)«”; data ukończenia: 29 maja 2024 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

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



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 54/2024 z dnia 10 czerwca 2024 roku
w sprawie oceny leku Nucala (mepolizumab) w ramach programu
lekowego „Leczenie chorych z zapaleniem zatok przynosowych
z polipami nosa (ICD-10: J32, J33)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktów leczniczych:

- Nucala (mepolizumab), roztwór do wstrzykiwań w ampułko-strzykawce, 100 mg, 1, amp.-strzyk. 1 ml, GTIN 05909991407148;
- Nucala (mepolizumab), roztwór do wstrzykiwań we wstrzykiwaczu, 100 mg, 1, wstrzykiwacz 1 ml, GTIN 05909991407018;

w ramach programu lekowego „Leczenie chorych z zapaleniem zatok przynosowych z polipami nosa (ICD-10: J32, J33)”, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie ich bezpłatnie, pod warunkiem:

- zastosowania RSS zapewniającego efektywność kosztową terapii względem leczenia standardowego.

Rada zgłasza następujące uwagi do projektu programu lekowego:

- wymagane jest ujednoczenie wskazań do terapii dupilumabem i mepolizumabem w odniesieniu do liczby wymaganych zabiegów,
- w zakresie badań kwalifikujących do leczenia należy uwzględnić konsultację alergologiczną lub laryngologiczną w zależności od tego, przez którego specjalistę będzie realizowany program oraz uściślić kwestię zastosowania badania TC zatok (co najmniej 6 mies. przed włączeniem do PL), czy wykonywane jest celem identyfikacji polipów czy też nieskuteczności zabiegu operacyjnego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Dotyczy oceny leku Nucala (mepolizumab) w ramach programu lekowego „Leczenie chorych z zapaleniem zatok przynosowych z polipami nosa (ICD-10: J32, J33)”.

Pierwszą linią leczenia przewlekłego zapalenia zatok jest codzienne stosowanie miejscowych glikokortykosteroidów (GKS) oraz płukanie jam nosa roztworem

soli. Jeżeli ww. leczenie jest niewystarczające do uzyskania kontroli choroby, zaleca się krótkoterminowy cykl doustnych GKS, które mogą być stosowane samodzielnie lub jako uzupełnienie terapii donosowymi kortykosteroidami.

Zabieg chirurgiczny należy rozważyć u chorych z przewlekłym zapaleniem zatok przynosowych z polipami nosa (PZZPzPN), u których nie osiągnięto kontroli choroby pomimo stosowania leczenia podstawowego [pogorszenie wyników w zakresie skali VAS (≥ 5) czy SNOT-22(≥ 40)].

Zaleca się rozważenie leczenia biologicznego u chorych z PZZP z obustronnymi polipami o nasileniu od umiarkowanego do ciężkiego po niepowodzeniu zabiegu chirurgicznego oraz odpowiedniej farmakoterapii, u których zaobserwowano znaczne pogorszenie jakości życia.

Dowody naukowe

Wyniki badania SYNAPSE potwierdzają skuteczność i bezpieczeństwo stosowania mepolizumabu u chorych z PZZPzPN w stosunku do placebo. Wyniki przeglądu systematycznego (Cai 2022) oraz przeglądu z metaanalizą sieciową (Oykhman 2022) wskazują na przewagę stosowania dupilumabu w omawianej grupie chorych, jednak autorzy podkreślają, że mepolizumab jest opcją terapeutyczną w szczególności dla pacjentów, którzy mogą nie reagować na dupilumab lub u których występują specyficzne przeciwwskazania. Wyniki RWE (Domínguez-Sosa 2023, Dorling 2024) dot. bezpieczeństwa terapii mepolizumabem i dupilumabem w populacji dorosłych z PZZPzPN wskazują na korzystne parametry zarówno w kontekście skuteczności klinicznej, jak i bezpieczeństwa terapii mepolizumabem.

Towarzystwa naukowe w zakresie opcji terapeutycznych PZZPzPN wskazują m.in. dupilumab oraz mepolizumab (PTOChGSz/PTA 2023; EUFOREA 2019/2021; ICAR-RS 2021; EPOS 2020). Jednak to dupilumab jest najczęściej wskazywaną, skuteczną terapią biologiczną u pacjentów z PZZPzPN po nieskutecznej farmakoterapii lub zabiegu operacyjnym, w szczególności z ciężką postacią PZZPzPN (ICAR-RS 2021, EPOS 2020). Polskie wytyczne przedstawiają, że mepolizumab w stosunku do dupilumabu charakteryzuje się słabszą skutecznością w PZZPzPN pomimo że eozynofilia charakteryzuje zapalenie typu 2 (PTOChGSz/PTA 2023). Jednak należy mieć na uwadze, że ww. dokument zaleceń nie zawiera najnowszych doniesień pochodzących z badań rzeczywistej praktyki klinicznej (RWE). Wytyczne nie wskazują jednoznacznie, która z aktualnie dostępnych i skutecznych terapii biologicznych powinna być terapią zalecaną.

Problem ekonomiczny

Zgodnie z analizą wnioskodawcy lek jest nieefektywny kosztowo w stosunku do terapii standardowej. Biorąc pod uwagę stosowanie innych metod leczenia, w tym również leku biologicznego dupilumab w populacji chorych z PZZPzPN,

przewiduje się, że refundacja leku mepolizumab wpłynie na wzrost wydatków NFZ o [REDACTED]

Główne argumenty decyzji

- *Skuteczność w badaniu klinicznym.*
- *Pozytywna opinia ekspertów klinicznych pod warunkiem prawidłowego ustalenia kryteriów włączenia.*

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2023 r., poz. 826 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 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OT.423.1.18.2024 „Nucała (mepolizumab) w ramach programu lekowego »Leczenie chorych z zapaleniem zatok przynosowych z polipami nosa (ICD-10: J32, J33)«”; data ukończenia: 28.05.2024 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

Podstawa prawna wyłączenia jawności: art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2022r., poz.902) w zw. z art. 11 ust. 2 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2022 r., poz. 1233), art.. 35 ust. 4a - 4b 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 z późn. zm.)¹) i art. 35a 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 z późn. zm.).

Organ dokonujący wyłączenia jawności: Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji.

Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: GSK Services sp. z o.o.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 90/2024 z dnia 10 czerwca 2024 roku
o projekcie programu „Regionalny Program Zdrowotny w zakresie
opracowania wskazówek i zaleceń do pracy z dzieckiem od 18 mies. ż.
do 17 r.ż. z zaburzeniami ze spektrum autyzmu w środowisku
domowym”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Regionalny Program Zdrowotny w zakresie opracowania wskazówek i zaleceń do pracy z dzieckiem od 18 mies. ż. do 17 r.ż. z zaburzeniami ze spektrum autyzmu w środowisku domowym”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.

Uzasadnienie

Oceniany projekt programu, pt. „Regionalny Program Zdrowotny w zakresie opracowania wskazówek i zaleceń do pracy z dzieckiem od 18 mies. ż. do 17 r.ż. z zaburzeniami ze spektrum autyzmu w środowisku domowym”, został zaplanowany do realizacji w latach 2024-2028.

Program będzie realizowany na terenie województwa mazowieckiego.

Wnioskodawcą programu jest Województwo Mazowieckie.

Do programu zostaną zakwalifikowane dzieci z diagnozą zaburzeń ze spektrum autyzmu (ASD) w wieku od 18 miesiąca życia do 17 roku życia oraz ich rodzice lub opiekunowie prawni.

W treści projektu podkreślono także, że biorąc pod uwagę statystyki przywoływane przez WHO, w województwie mazowieckim ASD może dotyczyć około 8 000 dzieci (od 3 do 15 roku życia).

Celem głównym programu jest: poprawa lub utrzymanie na tym samym poziomie funkcjonowania w środowisku domowym 80% dzieci z ASD uczestniczących w programie.

Program przewiduje także 3 cele szczegółowe:

- wzrost wiedzy z zakresu metod terapeutycznych i praktycznego wspierania dziecka w środowisku domowym u minimum 60% uczestników,*

- poprawę lub utrzymanie na tym samym poziomie funkcjonowania u 40% dzieci w środowisku domowym po zakończeniu udziału dziecka w programie na podstawie oceny rodzica,
- realizację indywidualnego programu domowego dla dziecka po zakończeniu udziału w programie u 50% uczestników.

Planowane w ramach programu interwencje zostały rozbite na dwa etapy:

- pierwszy obejmujący kwalifikację do programu, wywiad z rodzicami lub opiekunami dziecka, spotkanie z terapeutą środowiskowym, przeprowadzenie określonych testów i wykonanie diagnozy funkcjonalnej, dokonanie oceny komunikacji i funkcjonowania dziecka, a następnie omówienie wyników z rodzicami lub opiekunami dziecka;
- drugi obejmujący spotkania w środowisku domowym, prowadzenie grupy wsparcia dla rodziców oraz opiekunów dziecka, prowadzenie indywidualnej psychoedukacji i wsparcia psychologicznego dla rodziców oraz opiekunów dziecka, szkolenia grupowe dla rodziców/opiekunów, powtórne wykonanie testów, konsultacja z lekarzem specjalistą, stworzenie indywidualnego programu domowego dla dziecka, spotkanie podsumowujące oraz spotkanie monitorujące realizację indywidualnego programu domowego.

Okres objęcia każdego uczestnika programem to minimum 6 miesięcy, a maksymalnie 24 miesiące.

W projekcie programu przewidziano przeprowadzenie ww. interwencji dla około 834 osób, w tym 417 dzieci oraz 417 rodziców/opiekunów.

Planowane koszty całkowite programu zostały oszacowane na kwotę 6 069 700 zł (3 034 850 zł – dofinansowanie ze środków UE, 3 034 850 zł – wkład krajowy). W projekcie wyszczególniono także koszty jednostkowe oraz założono, że średni koszt przypadający na 1 uczestnika (dziecko) programu będzie wynosić 13 761 zł, a średni koszt przypadający na 1 rodzica/opiekuna będzie wynosić 764,50 zł.

Realizatorzy programu (podmioty wykonujące działalność leczniczą) zostaną wyłonieni w ramach trybu konkurencyjnego (konkursu).

Opiniowany program był poprzedzony programem realizowanym w latach 2014 - 2017. Następnie kolejny projekt programu zaplanowany był do realizacji w latach 2017-2019 („Opracowanie wskazówek i zaleceń do pracy z dzieckiem z zaburzeniami ze spektrum autyzmu w środowisku domowym”), jednak faktycznie był realizowany w latach 2017-2020.

Program ma być uzupełnieniem działań oferowanych i finansowanych w ramach NFZ, stanowiąc dodatkowe wsparcie dla dzieci z ASD i ich rodziców/opiekunów po otrzymaniu diagnozy; w programie będącym przedmiotem niniejszego raportu

planuje się także działania edukacyjne skierowane do rodziców/opiekunów prawnych dzieci, co stanowi wartość dodaną do świadczeń finansowanych ze środków publicznych.

Ocenić należy, że problem zdrowotny został w programie opisany w sposób szczegółowy i precyzyjny. W programie odniesiono się także do sytuacji epidemiologicznej i przedstawiono w tym zakresie dane światowe, ogólnopolskie oraz regionalne. Projekt programu zawiera kryteria włączenia oraz wyłączenia z programu.

Przyjęty w programie cel główny wydaje się możliwy do osiągnięcia za pomocą przewidzianych w programie działań.

Oceniany projekt programu odnosi się do istotnego problemu zdrowotnego jakim są zaburzenia ze spektrum autyzmu. Autyzm dziecięcy (wg ICD-10 – F84.0) to rodzaj całościowego zaburzenia rozwojowego charakteryzującego się nieprawidłowym lub zaburzonym rozwojem we wczesnym dzieciństwie (przed trzecim rokiem życia) i obejmującym wszystkie sfery funkcjonowania dziecka.

Pierwsze objawy są zwykle w początkowych latach życia, natomiast znaczenia klinicznego nabierają dopiero, gdy pojawiają się wyzwania rozwojowe, którym należy sprostać.

Wśród kryteriów decydujących o wstępnej diagnozie zaburzeń ze spektrum autyzmu (wg DSM-V) wymienia się między innymi klinicznie znaczące, stałe nieprawidłowości w obrębie komunikacji społecznej i interakcji (wyraźne deficyty w komunikacji werbalnej i niewerbalnej wykorzystywanej w interakcjach społecznych, brak wzajemności społecznej oraz nieumiejętność rozwijania i utrzymywania relacji z rówieśnikami właściwej dla poziomu rozwoju pacjenta).

Jak wskazuje się w rekomendacjach zastosowanie wczesnej interwencji w populacji dzieci z autyzmem jest bardzo istotne, ale trzeba brać pod uwagę możliwości i preferencje najbliższych pacjenta, uwzględniać mocne i słabe strony dziecka. Należy rozważyć interwencje z udziałem rodziców/opiekunów pacjentów z podejrzeniem lub stwierdzonym ASD oraz zapewnić edukację i wsparcie rodziców/opiekunów celem nabycia odpowiednich umiejętności do pracy z dzieckiem.

Wśród zalecanych interwencji w terapii ASD, opartych o dowody naukowe wymienia się: interwencje behawioralne i poznawczo-behawioralne, treningi językowe – funkcjonalne, modelowanie i wideo modelowanie, naturalistyczne strategie uczenia, treningi/szkolenia rodziców, treningi dla rówieśników, treningi umiejętności kluczowych, planowanie/scenariusze, treningi samodzielności i samokontroli, treningi umiejętności społecznych, interwencje oparte na określonej historii.

Warto podkreślić, że opiniowany projekt jest zbieżny z celem Narodowego Programu Zdrowia (NPZ) na lata 2021-2025: promocja zdrowia psychicznego, a także odnosi się do Narodowego Programu Ochrony Zdrowia Psychicznego na lata 2023-2030.

Uwagi Rady:

- program powinien zawierać poprawnie sformułowane cele i mierniki efektywności, zgodnie z uwagami zawartymi w raporcie AOTMiT;
- program, w ramach celu szczegółowego nr 1, przewiduje, że o realnym przyroście wiedzy uczestników szkolenia będzie świadczyć wynik o co najmniej jeden punkt lepszy w ponownym badaniu wiedzy. W ocenie Rady tak sformułowany sposób badania przyrostu wiedzy uczestników szkolenia może okazać się nieprecyzyjny (wynik lepszy jedynie o 1 pkt może być przypadkowy), zasadnym jest zdefiniowanie pożądanej wartości wzrostu wiedzy uczestników, np. o 30%;
- prawidłowo zaplanowana akcja edukacyjna (cel szczegółowy nr 1) powinna zakończyć się wzrostem lub utrzymaniem wysokiego poziomu wiedzy u wszystkich osób uczestniczących w programie, przy czym należy zdefiniować co oznacza wysoki poziom wiedzy (np. minimum 85% poprawnych odpowiedzi w pre-teście);
- do projektu należy załączyć zaplanowane do przeprowadzenia pre- i post-testy sprawdzające przyrost wiedzy uczestników programu;
- uczestnicy programu muszą wyrazić zgodę na udział w nim, niemniej w formularzu ŚWIADOMA ZGODA NA UDZIAŁ W PROGRAMIE (załącznik A) należy usunąć powołanie na ustawę z dnia 6 listopada 2008 r. o prawach pacjenta i Rzeczniku Praw Pacjenta, gdyż akt ten nie reguluje w żadnej mierze wyrażania zgód na udziały w programach tego rodzaju, a wyrażanie zgody na udzielenie świadczeń zdrowotnych. Należy odróżnić zgodę na udział w programie, która ma mieć charakter dokumentu programowego oraz ma być przechowywana poza dokumentacją medyczną, co przesądza sam autor projektu programu, od zgody na udzielenie świadczeń zdrowotnych, która - w przypadku wyrażenia jej na piśmie - powinna być przechowywana w dokumentacji medycznej pacjenta, zgodnie z obowiązującymi przepisami prawa.

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 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem raportu nr: OT.431.27.2024 „Regionalny Program Zdrowotny w zakresie opracowania wskazówek i zaleceń do pracy z dzieckiem od 18 mies. ż. do 17 r.ż. z zaburzeniami ze spektrum autyzmu w środowisku domowym” realizowany przez: Województwo Mazowieckie; data ukończenia: czerwiec 2024 oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Wczesna diagnostyka i terapia zaburzeń ze spektrum autyzmu (ASD) - wspólne podstawy oceny” z kwietnia 2017 r.