



BP.401.21.2024.PP

**Protokół z posiedzenia  
Rady Przejrzystości 26/2024  
w dniu 17 czerwca 2024 roku**

Tomasz Pasierski otworzył posiedzenie o godzinie 9.59.

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

1. Artur Bachta
2. Małgorzata Bała
3. Katarzyna Galas
4. Marcin Lipowski
5. Tomasz Młynarski
6. Tomasz Pasierski
7. Jacek Rubik
8. Zbigniew Siudak

Członkowie Rady Przejrzystości nieobecni na posiedzeniu:

1. Małgorzata Dziedziak
2. Marcin Kołakowski

Proponowany porządek obrad:

1. Omówienie powiązań branżowych i ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie opinii w sprawie umieszczenia leków zawierających substancje czynne: apixabanum, atenololum, chlortalidonum, clonidini hydrochloridum, dabigatranum etexilatum, digoxinum, eplerenonum, flecainidi acetat, hydrochlorothiazidum, imidaprili hydrochloridum, labetalolum, methyldopum, moxonidinum, nifedipinum, olmesartanum medoxomilum, rilmenidinum, rivaroxabanum, torasemidum, trandolaprilum, trimetazidini dihydrochloridum, zofenoprilum calcicum, wymagających stosowania dłużej niż 30 dni, rekomendowanych w wytycznych postępowania klinicznego, dla których nie złożono wniosku o objęcie refundacją i upłynęła wyłączność rynkową, na liście o której mowa w art. 30a ustawy o refundacji leków.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej „Specjalistyczna porada laktacyjna lekarza” jako świadczenia gwarantowanego.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności zakwalifikowania świadczeń opieki zdrowotnej „Specjalistyczna porada laktacyjna położnej” jako świadczenia gwarantowanego.
5. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Vesoxx (oxybutynin) w ramach programu lekowego B.73. „Leczenie pacjentów z neurogenną nadreaktywnością wypieracza (ICD- 10: N31)”.
6. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Tecartus (breksukabtagen autoleucel) w ramach programu lekowego B.65. „Leczenie chorych na ostrą białaczkę limfoblastyczną (ICD-10: C91.0)”.

7. Przygotowanie stanowiska w sprawie importu docelowego dla środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego: SOS 10, SOS 15, SOS 20, SOS 25 we wskazaniu: uzupełnienie diety w prawidłowym zbilansowaniu dziennego zapotrzebowania na energię i stabilizacji w przebiegu acydurii propionowej, acydurii glutarowej, acydurii metylomalonowej, hiperamonemii pierwotnej, deficycie LCHADD, deficycie VLCA, lizynurycznej nietolerancji białka, glikogenozie, chorobie syropu klonowego, deficycie CPS1.
8. Przygotowanie opinii w sprawie kontynuacji refundacji we wskazaniach pozarejestacyjnych dla substancji czynnej prednisonum we wskazaniu: eozynofilowe zapalenie jelit u dzieci do 18 r.ż.
9. Przygotowanie opinii w sprawie kontynuacji refundacji we wskazaniach pozarejestacyjnych dla substancji czynnej salbutamolum we wskazaniu: bradykardia u dzieci do 18 roku życia.
10. Przygotowanie opinii w sprawie kontynuacji refundacji we wskazaniach pozarejestacyjnych dla substancji czynnej amantadyna we wskazaniu: dyskineza późna u osób dorosłych – leczenie.
11. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Profilaktyka i wczesne wykrywanie raka jądra wśród mężczyzn w wieku 20-39 lat, zamieszkałych w Poznaniu, w latach 2024-2026”.
12. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program polityki zdrowotnej w zakresie leczenia niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego – in vitro dla mieszkańców Gminy Miasta Inowrocław na lata 2024-2026”.
13. Zakończenie posiedzenia.

**Ad 1.** Jacek Rubik zgłosił konflikt w zakresie punktu 3. i 4., wobec czego jego głos będzie liczony jako wstrzymujący. Rada jednogłośnie (8 głosów „za”) przyjęła porządek obrad.

**Ad 2.** Analitik Agencji omówił raport w sprawie umieszczenia leków zawierających substancje czynne: apixabanum, atenololum, chlortalidonum, clonidini hydrochloridum, dabigatranum etexilatum, digoxinum, eplerenonum, flecainidi acetat, hydrochlorothiazidum, imidaprilu hydrochloridum, labetalolum, methyldopum, moxonidinum, nifedipinum, olmesartanum medoxomilum, rilmenidinum, rivaroxabanum, torasemidum, trandolaprilum, trimetazidini dihydrochloridum, zofenoprilum, wymagających stosowania dłużej niż 30 dni, rekomendowanych w wytycznych postępowania klinicznego, dla których nie złożono wniosku o objęcie refundacją i upłynęła wyłączność rynkową, na liście o której mowa w art. 30a ustawy o refundacji leków.

Projekt opinii Rady przedstawili: Tomasz Pasierski, Zbigniew Siudak.

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym uczestniczyli: Tomasz Pasierski, Zbigniew Siudak, Jacek Rubik.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (8 głosów „za”) uchwaliła opinię (załącznik nr 1 do protokołu).

**Ad 3.** Analitik Agencji zaprezentował najważniejsze informacje z raportu w sprawie oceny zasadności zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej „Specjalistyczna porada laktacyjna lekarza” jako świadczenia gwarantowanego.

We wstępnej dyskusji udział wzięli: Tomasz Pasierski, Małgorzata Bała, Katarzyna Galas.

Projekt stanowiska Rady przedstawiła: Katarzyna Galas.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (7 głosów „za”, 1 głos „wstrzymujący”) uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 2 do protokołu).

**Ad 4.** Analitik Agencji zaprezentował najważniejsze informacje z raportu w sprawie oceny zasadności zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej „Specjalistyczna porada laktacyjna położnej” jako świadczenia gwarantowanego.

Projekt stanowiska Rady przedstawiła: Katarzyna Galas.

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym uczestniczył Tomasz Pasierski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (7 głosów „za”, 1 głos „wstrzymujący”) uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 3 do protokołu).

**Ad 5.** Analitik Agencji zaprezentował najważniejsze informacje z raportu w sprawie oceny leku Vesox (oxybutynin) w ramach programu lekowego B.73. „Leczenie pacjentów z neurogeną nadreaktywnością wypręczenia (ICD- 10: N31)”.

Projekt stanowiska Rady przedstawił: Artur Bachta.

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym uczestniczyli: Tomasz Pasierski, Jacek Rubik, Małgorzata Bała.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (8 głosów „za”) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 4 do protokołu).

**Ad 6.** Analitik Agencji zaprezentował najważniejsze informacje z raportu w sprawie oceny leku Tecartus (breksukabtagen autoleucel) w ramach programu lekowego B.65. „Leczenie chorych na ostrą białaczkę limfoblastyczną (ICD-10: C91.0)”.

We wstępnej dyskusji udział wzięli: Małgorzata Bała, Tomasz Pasierski, Marcin Lipowski, Jacek Rubik, Tomasz Młynarski.

Projekt stanowiska Rady przedstawiła: Małgorzata Bała.

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym uczestniczyli: Tomasz Pasierski, Małgorzata Bała.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (8 głosów „za”) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 5 do protokołu).

**Ad 7.** Analitik Agencji omówił raport w sprawie importu docelowego dla środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego: SOS 10, SOS 15, SOS 20, SOS 25 we wskazaniu: uzupełnienie diety w prawidłowym zbilansowaniu dziennego zapotrzebowania na energię i stabilizacji w przebiegu acydurii propionowej, acydurii glutarowej, acydurii metylomalonowej, hiperamonemii pierwotnej, deficycie LCHADD, deficycie VLCA, lizynurycznej nietolerancji białka, glikogenozie, chorobie syropu klonowego, deficycie CPS1.

We wstępnej dyskusji udział wzięli: Katarzyna Galas.

Projekt stanowiska Rady przedstawił: Tomasz Młynarski.

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym uczestniczył Tomasz Pasierski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (8 głosów „za”) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 6 do protokołu).

**Ad 8.** Jacek Rubik przedstawił projekt opinii w sprawie kontynuacji refundacji we wskazaniach pozarejestacyjnych dla substancji czynnej prednisonum we wskazaniu: eozynofilowe zapalenie jelit u dzieci do 18 r.ż.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (8 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 7 do protokołu).

**Ad 9.** Jacek Rubik przedstawił projekt opinii w sprawie kontynuacji refundacji we wskazaniach pozarejestacyjnych dla substancji czynnej salbutamolum we wskazaniu: bradykardia u dzieci do 18 roku życia.

W dyskusji głos wzięli: Marcin Lipowski, Zbigniew Siudak, Jacek Rubik.

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym uczestniczył Tomasz Pasierski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (8 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 8 do protokołu).

**Ad 10.** Marcin Lipowski przedstawił projekt opinii w sprawie kontynuacji refundacji we wskazaniach pozarejestacyjnych dla substancji czynnej amantadyna we wskazaniu: dyskineza późna u osób dorosłych – leczenie.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (8 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 9 do protokołu).

**Ad 11.** Analitik Agencji zaprezentował najważniejsze informacje z opracowania „Profilaktyka i wczesne wykrywanie raka jądra wśród mężczyzn w wieku 20-39 lat, zamieszkałych w Poznaniu, w latach 2024- 2026”.

Projekt opinii Rady przedstawił: Zbigniew Siudak.

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym uczestniczył Tomasz Pasierski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (8 głosów „za”) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 10 do protokołu).

**Ad 12.** Analitik Agencji zaprezentował najważniejsze informacje z opracowania „Program polityki zdrowotnej w zakresie leczenia niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego – in vitro dla mieszkańców Gminy Miasta Inowrocław na lata 2024-2026”.

Projekt opinii Rady przedstawiła: Małgorzata Bała.

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym uczestniczyli: Małgorzata Bała, Katarzyna Galas, Tomasz Pasierski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (8 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 11 do protokołu).

**Ad 13.** Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 13:27.



Opinia Rady Przejrzystości  
nr 91/2024 z dnia 17 czerwca 2024 roku  
w sprawie kwalifikacji technologii lekowych na listę,  
o której mowa w art. 30a ust. 1 ustawy o refundacji,  
przygotowywanej przez Ministra Zdrowia

*Rada Przejrzystości przedstawia ocenę zasadności zakwalifikowania technologii lekowych z wykazu dotyczącego leków we wskazaniach kardiologicznych, wymagających stosowania dłużej niż 30 dni w określonym stanie klinicznym i rekomendowanych w wytycznych postępowania klinicznego, w stosunku do których wnioskodawca nie złożył dotychczas wniosku o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu w danych wskazaniach oraz upłynęła wyłączość rynkowa z dnia 10 czerwca 2024 r. na listę, o której mowa w art. 30a ust. 1 ustawy o refundacji przygotowywanej przez Ministra Zdrowia.*

| Lp. | SUBSTANCJA CZYNNNA         | WSKAZANIE KARDIOLOGICZNE, W SZCZEGÓLNOŚCI OBEJMUJĄCE                                                                      |
|-----|----------------------------|---------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| 1.  | Apixabanum                 | Profilaktyka udaru i zatorowości obwodowej u dorosłych pacjentów z migotaniem przedsionków niezwiązanym z wadą zastawkową |
| 2.  | Chlortalidonum             | Nadciśnienie tętnicze                                                                                                     |
| 3.  | Clonidini hydrochloridum   | Nadciśnienie tętnicze                                                                                                     |
| 4.  | Dabigatranum etexilat      | Profilaktyka udaru i zatorowości obwodowej u dorosłych pacjentów z migotaniem przedsionków niezwiązanym z wadą zastawkową |
| 5.  | Digoxinum                  | Zaburzenia rytmu serca,<br>Niewydolność mięśnia sercowego                                                                 |
| 6.  | Eplerenonum                | Niewydolność mięśnia sercowego                                                                                            |
| 7.  | Flecainidi acetat          | Zaburzenia rytmu serca                                                                                                    |
| 8.  | Hydrochlorothiazidum       | Nadciśnienie tętnicze                                                                                                     |
| 9.  | Imidaprilii hydrochloridum | Nadciśnienie tętnicze                                                                                                     |
| 10. | Labetalolum                | Nadciśnienie tętnicze indukowane ciążą                                                                                    |
| 11. | Methyldopum                | Nadciśnienie tętnicze indukowane ciążą                                                                                    |
| 12. | Moxonidinum                | Nadciśnienie tętnicze                                                                                                     |
| 13. | Nifedipinum                | Nadciśnienie tętnicze indukowane ciążą                                                                                    |
| 14. | Olmesartanum medoxomilum   | Nadciśnienie tętnicze                                                                                                     |

| Lp. | SUBSTANCJA CZYNNNA             | WSKAZANIE KARDIOLOGICZNE, W SZCZEGÓLNOŚCI OBEJMUJĄCE                                                                      |
|-----|--------------------------------|---------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| 15. | Rilmenidinum                   | Nadciśnienie tętnicze                                                                                                     |
| 16. | Rivaroxabanum                  | Profilaktyka udaru i zatorowości obwodowej u dorosłych pacjentów z migotaniem przedsionków niezwiązanym z wadą zastawkową |
| 17. | Torasemidum                    | Niewydolność mięśnia sercowego                                                                                            |
| 18. | Trandolaprilum                 | Nadciśnienie tętnicze,<br>Niewydolność mięśnia sercowego                                                                  |
| 19. | Trimetazidini dihydrochloridum | Przewlekłe zespoły wieńcowe                                                                                               |
| 20. | Zofenoprilum calcicum          | Nadciśnienie tętnicze                                                                                                     |

### Uzasadnienie

*Dokonując wyboru technologii spośród zakwalifikowanych przez AOTMiT do wykazu dotyczącego leków we wskazaniach kardiologicznych, wymagających stosowania dłużej niż 30 dni w określonym stanie klinicznym i rekomendowanych w wytycznych postępowania klinicznego, w stosunku do których wnioskodawca nie złożył dotychczas wniosku o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu w danych wskazaniach oraz upłynęła wyłączność rynkowa, do ujęcia na liście leków, o których mowa w art. 30a ust. 1 ustawy o refundacji przygotowywanej przez Ministra Zdrowia, dotyczącej leków we wskazaniach kardiologicznych, Rada Przejrzystości kierowała się siłą interwencji (w oparciu o siłę zaleceń). Rada wzięta pod uwagę, że technologie ujęte w ww. wykazie zostały zakwalifikowane w oparciu o przeprowadzoną ocenę oczekiwanych efektów zdrowotnych, gdzie kierowano się m.in.:*

- *priorytetami zdrowotnymi,*
- *niezaspokojoną potrzebą zdrowotną,*
- *siłą interwencji,*
- *jakością danych naukowych,*
- *wielkością populacji docelowej,*
- *wpływem na budżet płatnika.*

*Rada nie brała pod uwagę aspektów ekonomicznych związanych z ewentualnym objęciem refundacją powyższych technologii.*

### **Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 30a ust. 5 ustawy z 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.), w związku z art. 31n ust. 5 pkt 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146) oraz w związku ze zleceniem przygotowania opinii w zakresie zasadności umieszczenia poszczególnych produktów z wykazu z dnia 10 czerwca 2024 r. dotyczącego leków we wskazaniach kardiologicznych, wymagających stosowania dłużej niż 30 dni w określonym stanie klinicznym i rekomendowanych w wytycznych postępowania klinicznego, w stosunku do których wnioskodawca nie złożył dotychczas wniosku o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu w danych wskazaniach oraz upłynęła wyłączność rynkowa, na pierwszej liście leków, o której mowa w art. 30a ust. 1 ustawy o refundacji przygotowywanej przez Ministra Zdrowia, z uwzględnieniem opracowania „Zasady tworzenia i wykazu leków na podstawie art. 30a ustawy o refundacji” Warszawa, 10 czerwca 2024 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 55/2024 z dnia 17 czerwca 2024 roku  
w sprawie zasadności kwalifikacji świadczenia opieki zdrowotnej  
„Specjalistyczna porada laktacyjna lekarza” jako świadczenia  
gwarantowanego

*Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „Specjalistyczna porada laktacyjna lekarza” jako świadczenia gwarantowanego.*

**Uzasadnienie**

Problem decyzyjny

*Opinia dotyczy oceny zasadności finansowania jako świadczenia gwarantowanego „Specjalistycznej porady laktacyjnej lekarza” z zakresu ambulatoryjnej opieki zdrowotnej (AOS).*

*Według Karty Świadczenia Opieki Zdrowotnej (KŚOZ), dołączonej do Zlecenia MZ, zakres świadczenia miałby obejmować:*

- a) przygotowanie ciężarnej do karmienia w przypadku występowania u niej poważnych czynników ryzyka wystąpienia problemów z karmieniem piersią – ustalenie planu postępowania w przypadku kobiety,*
- b) rozwiązywanie rzadkich, złożonych, przewlekłych i powikłanych problemów związanych z laktacją i karmieniem piersią, niemożliwych do rozwiązania w ramach podstawowej porady laktacyjnej.*

*Jednocześnie przy tym w KŚOZ wskazane zostało, że świadczenie byłoby dedykowane:*

- a) parze matka-dziecko, a więc kobiecie w okresie laktacji i dziecku w okresie karmienia piersią lub pokarmem matki, aż do końca tego okresu;*
- b) kobiecie w okresie przygotowania do prokreacji oraz podczas ciąży w przypadku występowania u niej poważnych czynników ryzyka wystąpienia problemów z karmieniem piersią;*
- c) kobiecie zakwalifikowanej do roli dawczyni mleka.*

*Świadczenie mogłoby być udzielane wyłącznie przez lekarza posiadającego dodatkowe kwalifikacje z zakresu laktacji (lekarz posiadający wiedzę i umiejętności w zakresie poradnictwa laktacyjnego uzyskane w ramach*



udokumentowanego kształcenia podyplomowego w zakresie poradnictwa laktacyjnego potwierdzonego certyfikatem wydanym przez podmiot wpisany do rejestru prowadzonego w formie ewidencyjno-informatycznej przez dyrektora CMKP).

Aktualnie podstawową opiekę laktacyjną wobec kobiet w ciąży w zakresie przygotowania do karmienia piersią oraz wobec kobiet w okresie laktacji i ich dzieci świadczą: położne i lekarze specjaliści w dziedzinie położnictwa i ginekologii, neonatologii na poziomie opieki ambulatoryjnej i szpitalnej oraz położne i lekarze POZ.

Polski standard organizacyjny opieki okołoporodowej obejmuje zagadnienia dotyczące edukacji i poradnictwa w zakresie laktacji.

W ramach świadczeń gwarantowanych w POZ – dostępne są świadczenia lekarza podstawowej opieki zdrowotnej, obejmujące porady patronażowe i świadczenia położnej podstawowej opieki zdrowotnej, realizowane w warunkach ambulatoryjnych i w domu świadczeniobiorcy, obejmujące w ramach wizyt patronażowych postępowanie w pierwszych dobach nowonarodzonego dziecka, umożliwiające tworzenie więzi matki z dzieckiem i prawidłowe rozpoczęcie karmienia piersią, a w dalszych dniach i tygodniach życia dziecka prowadzenie edukacji zdrowotnej i udzielanie porad w zakresie karmienia piersią oraz w zakresie laktacji, kontroli płodności, samoopieki (Porada patronażowa lekarza podstawowej opieki zdrowotnej, Wizyta patronażowa pielęgniarki podstawowej opieki zdrowotnej oraz Wizyta patronażowa położnej podstawowej opieki zdrowotnej).

W ramach świadczeń gwarantowanych w AOS – dostępne są świadczenia obejmujące: porady specjalistyczne lekarza (Porada specjalistyczna – położnictwo i ginekologia), obejmujące realizację świadczeń zgodnie ze standardami postępowania medycznego przy udzielaniu świadczeń zdrowotnych z zakresu opieki okołoporodowej sprawowanej nad kobietą w okresie fizjologicznej ciąży, fizjologicznego porodu, porodu oraz opieki nad noworodkiem (tym samym poradnictwo laktacyjne), oraz porada specjalistyczna położnej (Porada położnej - położnictwo i ginekologia), w ramach której prowadzona jest ocena zmian ciążowych, rozwoju ciąży, identyfikacji czynników ryzyka ciążowego, poradnictwo specjalistyczne, wystawianie skierowania na wykonanie określonych badań diagnostycznych oraz dobór sposobów leczenia ran w ramach świadczeń leczniczych udzielanych przez położną samodzielnie bez zlecenia lekarskiego.

W ramach świadczeń gwarantowanych w LSZ – w oddziałach szpitalnych o profilu położnictwo i ginekologia, jednym z wymaganych warunków realizacji świadczeń jest prowadzenie m.in. edukacji laktacyjnej oraz wsparcie i poradnictwo w zakresie karmienia piersią zgodnie ze Standardem organizacyjnym opieki

zdrowotnej w podmiotach wykonujących działalność leczniczą udzielających świadczeń zdrowotnych w zakresie opieki okołoporodowej.

Dodatkowo, kompleksowa opieka nad matką w okresie ciąży, porodu i połogu oraz jej nowo narodzonym dzieckiem, obejmującą pełną dostępność do świadczeń zgodnie ze wskazaniami medycznymi, w tym opiekę po urodzeniu dziecka realizowaną przez położną w ramach wizyt domowych oraz konsultacje w zakresie karmienia piersią, realizowana jest i finansowana przez NFZ w programie opieki koordynowanej nad kobietą w ciąży.

Porada laktacyjna stanowi element ww. zakresów świadczeń gwarantowanych i nie jest wydzielona do odrębnego finansowania.

#### Dowody naukowe

Nie odnaleziono dowodów skuteczności specjalistycznej porady laktacyjnej prowadzonej przez lekarza posiadającego dodatkowe kwalifikacje z zakresu laktacji.

Odnalezione badania dotyczyły interwencji obejmujących poradnictwo laktacyjne ze strony pracownika medycznego, jak również interwencje opisane jako edukacja lub wizyty domowe pracownika medycznego lub niemedycznego obejmujące jedynie elementy poradnictwa (McFadden 2019, Fair 2019). Przy czym jakość ww. przeglądów systematycznych została oceniona jako umiarkowana bądź niska.

#### Problem ekonomiczny

Nie odnaleziono analiz ekonomicznych odnoszących się do specjalistycznej porady laktacyjnej świadczonej przez lekarza. Analiza ekonomiczna włączona do przeglądu systematycznego Agencji odnosi się do użyteczności kosztowej interwencji edukacyjnych (edukacji indywidualnej lub grupowej) oraz wsparcia kobiet w ciąży/po porodzie ze strony rówieśników i specjalistów celem promowania karmienia piersią (Mavranouzouli 2022). Inkrementalny współczynnik użyteczności kosztów (ICUR) dla wsparcia w zakresie laktacji, względem standardowej opieki wyniósł 200-300 tys. PLN/QALY z perspektywy płatnika publicznego.

Powyższe wyniki sugerują ograniczone korzyści ekonomiczne z przeprowadzenia wsparcia w zakresie laktacji (ICUR powyżej progu kosztu użyteczności kosztowej w Polsce, który wynosi 190 380 PLN/QALY).

Oszacowany przez ekspertów klinicznych odsetek kobiet, w okresie laktacji, które wymagają specjalistycznej porady laktacyjnej wyniósł ok. 5-6% dla porady lekarskiej. Szacuje się, że wydatki płatnika publicznego w przypadku zakwalifikowania „Specjalistycznej porady laktacyjnej lekarza” do koszyka świadczeń gwarantowanych z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej i ustaleniu odrębnej wyceny znajdują się w przedziale od ok. 9 do ok. 17 mln zł rocznie (przy założeniu 2 porad rocznie na urodzone w danym roku dziecko).

### Główne argumenty decyzji

- *porada laktacyjna jest w Standardzie Organizacyjnym Opieki Okołoporodowej, świadczenie miałyby dotyczyć czynności, które już teraz wchodzą w zakres działań refundowanych;*
- *z KŚOZ nie wybrzmiewa nowa jakość w stosunku do aktualnych rozwiązań systemowych, w szczególności brak wskazania konkretnych przykładów, dla których obecne świadczenia są niewystarczające;*
- *KŚOZ zawiera szereg nieścisłości (np. niespójne określenie grupy docelowej) i błędów (dot. uprawnień położnych do kierowania na badania specjalistyczne oraz do poradni specjalistycznych);*
- *zawarte w KŚOZ dane populacyjne nie pozwalają na precyzyjne zdefiniowanie wielkości populacji docelowej, w szczególności nie pozwalają na identyfikację przypadków, w których dostępne obecnie świadczenia gwarantowane realizowane w formie porady położnej lub lekarza specjalisty są niewystarczające do przygotowania kobiety do rozpoczęcia lub kontynuacji karmienia piersią;*
- *wymóg posiadania przez lekarza dodatkowych kwalifikacji (certyfikat CMKP potwierdzający kształcenie podyplomowe w zakresie poradnictwa laktacyjnego) nie znajduje potwierdzenia w międzynarodowych wytycznych praktyki klinicznej, zaś obecne standardy kształcenia obejmują zagadnienia związane z poradnictwem laktacyjnym;*
- *zapropozowane w KŚOZ ograniczenie możliwości udzielania niektórych zakresów świadczenia i wykonywania niektórych świadczeń zabiegowych do specjalistycznych porad laktacyjnych może spowodować ograniczenie wykonywania niektórych procedur medycznych do określonej grupy lekarzy, mimo iż obecnie są one udzielane bez wymagania dodatkowych kwalifikacji i dostępne dla pacjentów;*
- *nieuzasadnione wydaje się być umieszczanie porady w ramach AOS (z uwagi na ryzyko kolejek, podczas gdy porada laktacyjna z uwagi na swą specyfikę powinna być udzielana niezwłocznie).*

**Tryb wydania stanowiska**

Stanowisko wydano na podstawie art. 31c ust. 6 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 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem raportu analitycznego w sprawie oceny świadczeń nr: WS.420.6.2024 „»Specjalistyczna porada laktacyjna lekarza« oraz »Specjalistyczna porada laktacyjna położnej« Ocena zasadności zakwalifikowania jako świadczeń gwarantowanych z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej”, data ukończenia: 12.06.2024 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 56/2024 z dnia 17 czerwca 2024 roku  
w sprawie zasadności kwalifikacji świadczenia opieki zdrowotnej  
„Specjalistyczna porada laktacyjna położnej” jako świadczenia  
gwarantowanego

*Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „Specjalistyczna porada laktacyjna położnej” jako świadczenia gwarantowanego.*

**Uzasadnienie**

Problem decyzyjny

*Opinia dotyczy oceny zasadności finansowania jako świadczenia gwarantowanego „Specjalistycznej porady laktacyjnej położnej” z zakresu ambulatoryjnej opieki zdrowotnej (AOS).*

*Według Karty Świadczenia Opieki Zdrowotnej (KŚOZ), dołączonej do zlecenia MZ, zakres świadczenia miałby obejmować:*

- a) przygotowanie ciężarnej do karmienia w przypadku występowania u niej poważnych czynników ryzyka wystąpienia problemów z karmieniem piersią – ustalenie planu postępowania w przypadku kobiety,*
- b) rozwiązywanie rzadkich, złożonych, przewlekłych i powikłanych problemów związanych z laktacją i karmieniem piersią, niemożliwych do rozwiązania w ramach podstawowej porady laktacyjnej.*

*Jednocześnie przy tym w KŚOZ wskazane zostało, że świadczenie byłoby dedykowane:*

- a) parze matka-dziecko, a więc kobiecie w okresie laktacji i dziecku w okresie karmienia piersią lub pokarmem matki, aż do końca tego okresu;*
- b) kobiecie w okresie przygotowania do prokreacji oraz podczas ciąży w przypadku występowania u niej poważnych czynników ryzyka wystąpienia problemów z karmieniem piersią;*
- c) kobiecie zakwalifikowanej do roli dawczyni mleka.*

*Świadczenie mogłoby być udzielane wyłącznie przez położną posiadającą dodatkowe kwalifikacje z zakresu laktacji (wymagany m.in. kurs specjalistyczny „Edukacja i wsparcie kobiety w okresie laktacji” lub inny kurs równoważny*

zgłoszony do Centrum Kształcenia Podyplomowego Pielęgniarek i Położnych w Systemie Monitorowania Kształcenia Pracowników Medycznych).

Aktualnie podstawową opiekę laktacyjną wobec kobiet w ciąży w zakresie przygotowania do karmienia piersią oraz wobec kobiet w okresie laktacji i ich dzieci świadczą: położne i lekarze specjaliści w dziedzinie położnictwa i ginekologii, neonatologii na poziomie opieki ambulatoryjnej i szpitalnej oraz położne i lekarze POZ.

Polski standard organizacyjny opieki okołoporodowej obejmuje zagadnienia dotyczące edukacji i poradnictwa w zakresie laktacji.

W ramach świadczeń gwarantowanych w POZ – dostępne są świadczenia lekarza podstawowej opieki zdrowotnej obejmujące porady patronażowe i świadczenia położnej podstawowej opieki zdrowotnej, realizowane w warunkach ambulatoryjnych i w domu świadczeniobiorcy, obejmujące w ramach wizyt patronażowych postępowanie w pierwszych dobach nowonarodzonego dziecka, umożliwiające tworzenie więzi matki z dzieckiem i prawidłowe rozpoczęcie karmienia piersią, a w dalszych dniach i tygodniach życia dziecka prowadzenie edukacji zdrowotnej i udzielanie porad w zakresie karmienia piersią oraz w zakresie laktacji, kontroli płodności, samoopieki (Porada patronażowa lekarza podstawowej opieki zdrowotnej, Wizyta patronażowa pielęgniarki podstawowej opieki zdrowotnej oraz Wizyta patronażowa położnej podstawowej opieki zdrowotnej).

W ramach świadczeń gwarantowanych w AOS – dostępne są świadczenia obejmujące: porady specjalistyczne lekarza (Porada specjalistyczna – położnictwo i ginekologia), obejmujące realizację świadczeń zgodnie ze standardami postępowania medycznego przy udzielaniu świadczeń zdrowotnych z zakresu opieki okołoporodowej sprawowanej nad kobietą w okresie fizjologicznej ciąży, fizjologicznego porodu, porodu oraz opieki nad noworodkiem (tym samym poradnictwo laktacyjne), oraz porada specjalistyczna położnej (Porada położnej - położnictwo i ginekologia), w ramach której prowadzona jest ocena zmian ciążowych, rozwoju ciąży, identyfikacji czynników ryzyka ciążowego, poradnictwo specjalistyczne, wystawianie skierowania na wykonanie określonych badań diagnostycznych oraz dobór sposobów leczenia ran w ramach świadczeń leczniczych udzielanych przez położną samodzielnie bez zlecenia lekarskiego.

W ramach świadczeń gwarantowanych w LSZ – w oddziałach szpitalnych o profilu położnictwo i ginekologia, jednym z wymaganych warunków realizacji świadczeń jest prowadzenie m.in. edukacji laktacyjnej oraz wsparcie i poradnictwo w zakresie karmienia piersią zgodnie ze Standardem organizacyjnym opieki zdrowotnej w podmiotach wykonujących działalność leczniczą udzielających świadczeń zdrowotnych w zakresie opieki okołoporodowej.

*Dodatkowo, kompleksowa opieka nad matką w okresie ciąży, porodu i połogu oraz jej nowo narodzonym dzieckiem, obejmującą pełną dostępność do świadczeń zgodnie ze wskazaniem medycznym, w tym opiekę po urodzeniu dziecka realizowaną przez położną w ramach wizyt domowych oraz konsultacje w zakresie karmienia piersią, realizowana jest i finansowana przez NFZ w programie opieki koordynowanej nad kobietą w ciąży.*

*Porada laktacyjna stanowi element ww. zakresów świadczeń gwarantowanych i nie jest wydzielona do odrębnego finansowania.*

#### Dowody naukowe

*Nie odnaleziono dowodów skuteczności specjalistycznej porady laktacyjnej prowadzonej przez położną posiadającą dodatkowe kwalifikacje z zakresu laktacji.*

*Odnalezione badania dotyczyły interwencji obejmujących poradnictwo laktacyjne ze strony pracownika medycznego, jak również interwencje opisane jako edukacja lub wizyty domowe pracownika medycznego lub niemedycznego obejmujące jedynie elementy poradnictwa (McFadden 2019, Fair 2019). Przyczem jakość ww. przeglądów systematycznych została oceniona jako umiarkowana bądź niska.*

#### Problem ekonomiczny

*Nie odnaleziono analiz ekonomicznych odnoszących się do specjalistycznej porady laktacyjnej świadczonej przez położną. Analiza ekonomiczna włączona do przeglądu systematycznego Agencji odnosi się do użyteczności kosztowej interwencji edukacyjnych (edukacji indywidualnej lub grupowej) oraz wsparcia kobiet w ciąży/po porodzie ze strony rówieśników i specjalistów celem promowania karmienia piersią (Mavranezouli 2022). Inkrementalny współczynnik użyteczności kosztów (ICUR) dla wsparcia w zakresie laktacji, względem standardowej opieki wyniósł 200-300 tys. PLN/QALY z perspektywy płatnika publicznego.*

*Powyższe wyniki sugerują ograniczone korzyści ekonomiczne z przeprowadzenia wsparcia w zakresie laktacji (ICUR powyżej progu kosztu użyteczności kosztowej w Polsce, który wynosi 190 380 PLN/QALY).*

*Oszacowany przez ekspertów klinicznych odsetek kobiet, w okresie laktacji, które wymagają specjalistycznej porady laktacyjnej wynosi ok. 20% dla porady położnej. Szacuje się, że wydatki płatnika publicznego w przypadku zakwalifikowania „Specjalistycznej porady laktacyjnej położnej” do koszyka świadczeń gwarantowanych z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej i ustaleniu odrębnej wyceny znajdują się w przedziale od ok. 8 do ok. 15 mln zł rocznie (przy założeniu 2 porad rocznie na urodzone w danym roku dziecko).*

### Główne argumenty decyzji

- *porada laktacyjna jest w Standardzie Organizacyjnym Opieki Okołoporodowej, opiniowane świadczenie miałoby dotyczyć czynności, które już teraz wchodzą w zakres działań refundowanych;*
- *z KŚOZ nie wybrzmiewa nowa jakość w stosunku do aktualnych rozwiązań systemowych, w szczególności brak wskazania konkretnych przykładów, dla których obecne świadczenia są niewystarczające;*
- *KŚOZ zawiera szereg nieścisłości (np. niespójne określenie grupy docelowej) i błędów (dot. uprawnień położnych do kierowania na badania specjalistyczne oraz do poradni specjalistycznych);*
- *zawarte w KŚOZ dane populacyjne nie pozwalają na precyzyjne zdefiniowanie wielkości populacji docelowej, w szczególności nie pozwalają na identyfikację przypadków, w których dostępne obecnie świadczenia gwarantowane realizowane w formie porady położnej lub lekarza specjalisty są niewystarczające do przygotowania kobiety do rozpoczęcia lub kontynuacji karmienia piersią;*
- *wymóg posiadania przez położną dodatkowych kwalifikacji nie znajduje potwierdzenia w międzynarodowych wytycznych praktyki klinicznej, zaś obecne standardy kształcenia obejmują zagadnienia związane z poradnictwem laktacyjnym;*
- *zaproponowane w KŚOZ ograniczenie możliwości udzielania niektórych zakresów świadczenia i wykonywania niektórych świadczeń zabiegowych do specjalistycznych porad laktacyjnych może spowodować ograniczenie wykonywania niektórych procedur medycznych do określonej grupy położnych, mimo iż obecnie są one udzielane bez wymagania dodatkowych kwalifikacji i dostępne dla pacjentów;*
- *nieuzasadnione wydaje się być umieszczanie porady w ramach AOS (z uwagi na ryzyko kolejek, podczas gdy porada laktacyjna z uwagi na swą specyfikę powinna być udzielana niezwłocznie);*
- *brak podobnych rozwiązań organizacyjnych w innych krajach europejskich.*



**Tryb wydania stanowiska**

Stanowisko wydano na podstawie art. 31c ust. 6 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 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem raportu analitycznego w sprawie oceny świadczeń nr: WS.420.6.2024 „»Specjalistyczna porada laktacyjna lekarza« oraz »Specjalistyczna porada laktacyjna położnej« Ocena zasadności zakwalifikowania jako świadczeń gwarantowanych z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej”, data ukończenia: 12.06.2024 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 57/2024 z dnia 17 czerwca 2024 roku  
w sprawie oceny leku Vesoxx (oxybutynini hydrochloridum) w ramach  
programu lekowego „Leczenie pacjentów z neurogenną  
nadreaktywnością wypieracza (ICD-10: N31)”

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Vesoxx (oxybutynini hydrochloridum), roztwór do podawania do pęcherza moczowego, 1 mg/ml, 100 amp.-strzyk. 10 ml, GTIN: 05909991398705, w ramach programu lekowego „Leczenie pacjentów z neurogenną nadreaktywnością wypieracza (ICD-10: N31)”, w ramach nowej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie.*

*Rada Przejrzystości uważa propozycję instrumentu dzielenia ryzyka za niewystarczającą.*

*Rada nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego.*

**Uzasadnienie**

**Problem decyzyjny**

*Ocena wniosku o objęcie refundacją leku Vesoxx (oxybutynini hydrochloridum) w ramach programu lekowego: „Leczenie pacjentów z neurogenną nadreaktywnością wypieracza (ICD-10: N31)”*

*Chlorowodorek oksybutyniny jest lekiem przeciwcholinergicznym, który również wywiera bezpośrednie działanie przeciwskurczowe na mięśnie gładkie. Hamuje skurcze pęcherza i łagodzi skurcz wywołany różnymi bodźcami; zwiększa objętość pęcherza, zmniejsza częstotliwość skurczów i opóźnia chęć opróżnienia pęcherza w zaburzeniu neurogennym pęcherza. Oprócz antycholinergicznego blokowania receptorów typu muskarynowego, rozluźnienie mięśni gładkich wynika z podobnego do papaweryny działania antagonistycznego na procesy odległe od połączeń nerwowo-mięśniowych. Ponadto chlorowodorek oksybutyniny wykazuje miejscowe działanie znieczulające.*

*Wskazanie zarejestrowane dla leku Vesoxx (1 mg/ml, roztwór do pęcherza moczowego, 100 ampułkostrzykawek, każda z 10 ml jałowego roztworu zawierającego 10 mg chlorowodoru oksybutyniny) to hamowanie neurogennej nadreaktywności wypieracza (ang. neurogenic detrusor overactivity, NDO) u dzieci w wieku od 6 lat i u dorosłych, którzy kontrolują opróżnianie pęcherza*

za pomocą okresowego cewnikowania pęcherza, w przypadku braku skutecznej kontroli za pomocą doustnych leków antycholinergicznym i (lub) wskutek występowania nietolerowalnych działań niepożądanych. Zgodnie z zaproponowanymi zapisami programu lekowego do leczenia oksybutyniną dopęcherzową mogą być leczeni pacjenci w wieku od 6 do 18 lat z neurogenną nadreaktywnością mięśnia wypieracza (NNW) potwierdzoną badaniem urodynamicznym, wynikającą z uszkodzenia rdzenia kręgowego lub z rozszczepienia kręgosłupa oraz w przypadku braku skutecznej kontroli NNW za pomocą doustnych leków antycholinergicznym, obserwowane przez minimum miesiąc oraz nietolerancji doustnego leczenia antycholinergicznego (należy wypróbować minimum dwa doustne leki antycholinergiczne, każdy przez minimum miesiąc) powodującej znaczne zaburzenia funkcji narządów lub układów zgodnie z ChPL należących do doustnych leków antycholinergicznym.

#### Dowody naukowe

Brak jest badań bezpośrednio porównujących efektywność kliniczną chlorowodorku oksybutyniny podawanej dopęcherzowo w stężeniu 0,1% z wybranymi komparatorami, tj: ostrzyknięcia pęcherza moczowego toksyną botulinową typu A oraz metoda chirurgiczna – nadpęcherzowe odprowadzenie moczu.

Analizę główną dotyczącą efektywności OXYins 0,1% w ocenianym wskazaniu oparto na jednym badaniu, tj. Buyse 1995, stanowiącym badanie obserwacyjne bez grupy kontrolnej.

#### Problem ekonomiczny

Koszt stosowania chlorowodorku oksybutyniny we wnioskowanym wskazaniu jest najwyższy spośród ocenianych interwencji, niezależnie od przyjętej perspektywy czy uwzględnienia lub braku uwzględnienia instrumentu dzielenia ryzyka. Jednocześnie zastosowanie produktu Vesoxx u pacjentów z rozważanej populacji charakteryzuje się największą wartością efektu zdrowotnego, rozumianego jako brak powikłań, spośród ocenianych interwencji.

#### Główne argumenty decyzji

- Wnioskowana technologia minimalizuje objawy uboczne alternatywnych terapii (tj. terapii zabiegowych, jakimi są ostrzyknięcia toksyną botulinową i zabiegi chirurgiczne) przy nietolerancji lub złej tolerancji leków doustnych, u dzieci cewnikowanych lub samocewnikujących się;
- Niewielki wpływ na budżet płatnika publicznego.

#### Uwaga Rady

Rada uważa, że koszt terapii jest zbyt wysoki. Jest on wyższy niż w niektórych krajach europejskich.

**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.423.1.25.2024 „Wniosek o objęcie refundacją leku Vesoxx (oxybutynini hydrochloridum) w ramach programu lekowego: »Leczenie pacjentów z neurogenną nadreaktywnością wypieracza (ICD-10: N31)«”, data ukończenia: 6 czerwca 2024 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 58/2024 z dnia 17 czerwca 2024 roku  
w sprawie oceny leku Tecartus (breksukabtagen autoleucel)  
w ramach programu lekowego „Leczenie chorych na ostrą białaczkę  
limfoblastyczną (ICD-10: C91.0)”

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Tecartus (breksukabtagen autoleucel), dyspersja do infuzji,  $0,4 - 2 \times 10^8$  komórek, 1 worek 68 ml, kod GTIN: 05909991460662, w ramach programu lekowego „Leczenie chorych na ostrą białaczkę limfoblastyczną (ICD-10: C91.0)”, w ramach istniejącej grupy limitowej 1226.2 i wydawanie go bezpłatnie, pod warunkiem pogłębienia instrumentu dzielenia ryzyka.*

*Rada nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego.*

**Uzasadnienie**

**Problem decyzyjny**

*Przedmiotem wniosku jest objęcie refundacją leczniczego Tecartus, breksukabtagen autoleucel, dyspersja do infuzji,  $0,4 - 2 \times 10^8$  komórek, 1 worek 68 ml, kod GTIN: 05909991460662, w ramach programu lekowego „Leczenie chorych na ostrą białaczkę limfoblastyczną (ICD-10: C91.0)”, we wskazaniu wynikającym ze złożonego wniosku i treści uzgodnionego programu lekowego. Wnioskowane wskazanie jest zgodne z rejestracją i dodatkowo zawężone poprzez kryteria kwalifikacji i wykluczenia z programu lekowego. Produkt leczniczy Tecartus we wskazaniu: nawrotowa lub oporna ostra białaczka limfoblastyczna (ICD-10:C91.0) nie był dotychczas przedmiotem oceny AOTMiT, ale podlegał dwukrotnie ocenie we wskazaniu: nawrotowy lub oporny na leczenie chłoniak z komórek płaszczka (ang. mantle cell lymphoma, MCL) u dorosłych pacjentów, którzy uprzednio otrzymali co najmniej dwie linie leczenia systemowego, w tym inhibitor kinazy tyrozynowej Brutona (ang. Bruton's tyrosine kinase, BTK).*

*Ostre białaczki (ALL) / chłoniaki limfoblastyczne (LBL) są nowotworami wywodzącymi się z prekursorów linii limfocytów B lub T – limfoblastów, które naciekają szpik i krew (ostre białaczki limfoblastyczne z linii B lub T [B-ALL lub T-ALL]) lub (rzadziej) węzły chłonne i tkanki pozawęzłowe (chłoniaki limfoblastyczne z linii B lub T [B-LBL lub T-LBL])). Jeśli stopień nacieczenia szpiku*

jest niższy niż 20%, to zgodnie z klasyfikacją Światowej Organizacji Zdrowia (WHO, World Health Organization) chorobę definiuje się jako chłoniaka limfoblastycznego (obie choroby wg WHO są uważane za tę samą jednostkę chorobową).

Wyniki leczenia zależą od charakterystyki biologicznej choroby, stanu i wieku pacjenta oraz od intensywności leczenia. Postać ALL Ph<sup>-</sup> jest podatna na polichemioterapię, a odpowiedź zależy od dawek leków. W związku z tym rokowanie w dużym stopniu zależy od początkowej masy guza i możliwości odpowiedniego eskalowania dawek leków, co z kolei jest ograniczone stanem sprawności i wiekiem.

U dorosłych CR uzyskuje się w ALL w >70% przypadków, a u osób młodych – >90%. Długoletnie przeżycie uzyskuje się u >50% dorosłych chorych na ALL Ph<sup>-</sup>. U chorych w wieku <35 lat przeżywalność jest większa, a w wieku >55 lat – mniejsza. Wprowadzenie TKI do leczenia ALL Ph<sup>+</sup> znacznie zwiększyło odsetek CR (>90%), czas trwania CR i odsetek wieloletnich przeżyć (>50%).

Wnioskodawca jako technologię alternatywną dla breksukabtagenu autoleucel (Brex) wskazał (w zależności od obecności mutacji w chromosomie Ph: inotuzumab ozogamycyny (INO) (Ph + / -), blinatumomab (BLINA) (Ph<sup>-</sup>), inhibitor kinaz tyrozynowych: ponatynib (PONA) (Ph<sup>+</sup>) oraz chemioterapię standardową (Ph + / -).

Wybór komparatora dokonany przez wnioskodawcę częściowo pokrywa się z opinią ekspertów ankietowanych przez Agencję.

#### Dowody naukowe

Do przeglądu systematycznego wnioskodawcy włączono: jednoramienne badanie kliniczne ZUMA-3 oceniające Brex stosowany wśród pacjentów z ALL z brakiem lub obecnością chromosomu Philadelphia; badanie randomizowane INO-VATE oceniające INO i chemioterapię standardową stosowane wśród pacjentów z ALL z brakiem lub obecnością chromosomu Philadelphia (22 publikacje); badanie z randomizacją TOWER oceniające BLINA i chemioterapię standardową stosowane wśród pacjentów z ALL z brakiem obecności chromosomu Philadelphia; badanie bez grupy kontrolnej PACE obejmujące ocenę stosowania ponatynibu wśród pacjentów z ALL z obecnością chromosomu Philadelphia; wyniki porównania pośredniego Brex z poszczególnymi komparatorami (z BLINA, z INO oraz z chemioterapią standardową) przeprowadzonego przez wnioskodawcę metodą MAIC na podstawie wyników badania ZUMA-3 (Brex) oraz z badań randomizowanych TOWER (BLINA vs ST) oraz INO-VATE (INO vs ST); porównanie pośrednie z badania SCHOLAR-3 porównującego Brex względem standardu postępowania (SoC), obejmującego przekrój terapii stosowanych w ALL (BLINA, INO oraz chemioterapię standardową).

*Mediana przeżycia całkowitego u pacjentów stosujących BREX w badaniu ZUMA-3 dla populacji ITT wyniosła 23,1 mies. (faza II) (brak danych dotyczących okresu obserwacji). Natomiast po okresie obserwacji o medianie równej 6 mies. mediana przeżycia całkowitego (OS) u pacjentów przyjmujących ponatynib (w badaniu PACE) (populacja ITT) wyniosła 8 mies. Natomiast w populacji mITT badania ZUMA-3 dla pacjentów  $\geq 26$  lat w najdłuższym okresie obserwacji 41,6 mies. (faza I+II) mediana przeżycia całkowitego wyniosła 26,0 mies.*

*Mediana przeżycia wolnego od nawrotu choroby u pacjentów leczonych BREX w badaniu ZUMA-3 dla populacji ITT wyniosła 7,0 mies. (faza II, dane z raportu EMA). W badaniu PACE, po okresie obs. o medianie równej 6. mies. mediana przeżycia wolnego od progresji choroby pacjentów stosujących PONA wyniosła 3 mies.*

*Natomiast w populacji mITT badania ZUMA-3 dla pacjentów  $\geq 26$  lat w najdłuższym okresie obserwacji 41,6 mies. (faza I+II) mediana przeżycia wolnego od nawrotu choroby wyniosła 11,6 mies.*

*Po okresach obserwacji o medianach równych 41,6 mies. i 38,8 mies. remisję choroby w badaniu ZUMA-3 (populacja mITT) uzyskało kolejno 73% i 71% pacjentów. W badaniu TOWER (populacja ITT) po okresie obserwacji o medianie równej 11,7 mies. remisję osiągnęło 44% pacjentów przyjmujących BLINA oraz 25% pacjentów przyjmujących ST. Wśród leczonych BREX mediana czasu trwania remisji wyniosła od 12,8 mies. dla fazy II badania oraz 20 mies. dla populacji obejmującej obie fazy badania, natomiast dla leczonych BLINA lub ST mediany czasu trwania remisji wyniosły 7,3 mies. i 4,6 mies.*

Jakość życia wśród pacjentów leczonych BREX mierzona była za pomocą kwestionariusza EQ-5D-5L z zastosowaniem wartości liczbowych opisujących stan zdrowia pacjenta (ang. index score) oraz wizualnej skali analogowej (VAS, ang. visual analog scale). Pomiary przeprowadzono w momencie rozpoczęcia badania, a następnie w 28. dniu oraz w 3., 6., 9. i 12. miesiącu leczenia.

Jakość życia wśród pacjentów leczonych INO i ST w badaniu INO-VATE mierzona była za pomocą kwestionariusza EQ-5D-3L. Jedyne dostępne wyniki dot. oceny jakości życia w badaniu INO-VATE (dla INO i ST) odnosił się pomiaru w 2. mies. terapii.

Poprawę jakości życia odnotowano u pacjentów stosujących BREX w badaniu ZUMA-3, jak i u pacjentów stosujących INO w badaniu INO-VATE. Natomiast u pacjentów stosujących ST w badaniu INO-VATE nie wykazano zmiany w średniej ocenie jakości życia względem wartości wyjściowej w 2. mies. terapii.

Porównanie pośrednie wykazało, że stosowanie BREX w porównaniu do terapii standardowej związane było z istotnie statystycznie wyższym prawdopodobieństwem: wydłużenia przeżycia całkowitego, wydłużenia przeżycia wolnego od nawrotu choroby i uzyskania remisji choroby.

W zakresie bezpieczeństwa leczenia w badaniu ZUMA-3 odnotowano łącznie 20 zgonów (36%), w tym 13 zgonów z powodu progresji (24%) oraz 10 zgonów, które zostały uznane za związane z AE (18%).

W badaniu INO-VATE odnotowano 131 zgonów (79,9%) wśród pacjentów stosujących inotuzumab (INO) oraz 126 (88,1%) wśród pacjentów stosujących chemioterapię standardową (ST). W badaniu TOWER odnotowano 164 (60,5%) zgony wśród pacjentów stosujących blinatumomab (BLINA) oraz 87 (64,9%) wśród pacjentów stosujących chemioterapię standardową (ST). W trakcie badania PACE (dla ponatynibu) wystąpiło łącznie 56 zgonów (u 12% wszystkich pacjentów włączonych do badania) – brak dokładnych danych w podziale na subpopulacje.

W ramach fazy II badania ZUMA-3 wystąpienie CRS odnotowano u 89% pacjentów, natomiast zdarzenia neurologiczne u 60% pacjentów. CRS  $\geq 3$ . stopnia odnotowano u 24% chorych, a zdarzenia neurologiczne  $\geq 3$ . stopnia odnotowano u 25% pacjentów.

Zdarzenia niepożądane  $\geq 3$ . stopnia odnotowano u 95% pacjentów przyjmujących BREX w badaniu ZUMA-3, 91% pacjentów przyjmujących INO w badaniu INO-VATE, 87% pacjentów przyjmujących BLINA w badaniu TOWER oraz 97% i 92% pacjentów przyjmujących chemioterapię standardową w badaniach INO-VATE i TOWER.

Do najczęściej raportowanych zdarzeń niepożądanych (AE)  $\geq 3$ . stopnia w badaniu ZUMA-3 należały: gorączka (36%), niedociśnienie (29%), niedokrwistość (49%) oraz zmniejszona liczba płytek we krwi (31%).



Dla populacji leczonej INO w ramach badania INO-VATE najczęstszymi AE  $\geq 3$ . stopnia były neutrofilia (47%) i zmniejszona liczba płytek we krwi (41%). W populacji leczonej BLINA w ramach badania TOWER najczęstszymi AE  $\geq 3$ . stopnia były gorączka neutropeniczna (21%) oraz niedokrwistość (20%). W populacji leczonej ST najczęstszymi AE  $\geq 3$ . stopnia były: trombocytopenia (28-59%), gorączka neutropeniczna (35–54%), niedokrwistość (35–44%) i neutropenia (27–44%). Natomiast u pacjentów leczonych PONA w ramach badania PACE najczęstszymi AE  $> 3$ . stopnia były neutropenia (22%) niedokrwistość (19%) i trombocytopenia (19%).

Zdarzenia niepożądane związane z leczeniem (TRAE)  $\geq 3$ . stopnia odnotowano u 89% przyjmujących BREX w badaniu ZUMA-3, 70% pacjentów przyjmujących INO w badaniu INO-VATE, 54% pacjentów przyjmujących BLINA w badaniu TOWER oraz 80% i 72% pacjentów przyjmujących chemioterapię standardową w badaniach INO-VATE i TOWER.

Do najczęściej raportowanych zdarzeń niepożądanych związanych z leczeniem (TRAE)  $\geq 3$ . stopnia w badaniu ZUMA-3 należały: gorączka (36%), niedociśnienie (29%) oraz niedotlenienie (20%), natomiast w przypadku pacjentów otrzymujących INO w badaniu INO-VATE najczęściej odnotowywano: neutropenię (36%), trombocytopenię (24%) oraz leukopenię (18%). W populacji leczonej ST najczęstszymi TRAE w badaniu INO-VATE były: gorączka neutropeniczna (46%), trombocytopenia (41%) i neutropenia (38%). Natomiast u pacjentów leczonych PONA w ramach badania PACE najczęstszymi TRAE były: neutropenia (12%) i niedokrwistość (12%). W badaniu TOWER (BLINA, ST) nie raportowano poszczególnych TRAE.

Ciężkie zdarzenia niepożądane  $\geq 3$ . stopnia (SAE) odnotowano u 73% pacjentów przyjmujących BREX w badaniu ZUMA-3, 50% pacjentów przyjmujących INO oraz 50% pacjentów przyjmujących ST w badaniu INO-VATE. W badaniu TOWER SAE ogółem odnotowano u 52% pacjentów przyjmujących BLINA oraz 45% pacjentów przyjmujących ST.

Do najczęściej raportowanych ciężkich zdarzeń niepożądanych SAE  $\geq 3$ . stopnia w badaniu ZUMA-3 należały: niedociśnienie (24%), niedotlenienie (13%) oraz gorączka (11%). W przypadku pacjentów otrzymujących INO w badaniu INO-VATE najczęściej odnotowywano: gorączkę neutropeniczną (12%) i chorobę zarostową żył wątrobowych (12%). W populacji leczonej BLINA w ramach badania TOWER najczęstszymi SAE  $\geq 3$ . stopnia były: gorączka neutropeniczna (9%) i gorączka (6%). W populacji leczonej ST najczęstszymi SAE  $\geq 3$ . stopnia były: gorączka neutropeniczna (11–19%) i sepsa (6–7%).

W ramach oceny skuteczności i bezpieczeństwa Tecartus w warunkach rzeczywistej praktyki klinicznej włączono dodatkowo badania dostępne w formie abstraktów konferencyjnych (badania niespełniające kryteriów włączenia

ze względu na brak publikacji pełnotekstowych): ROCCA (Roloff 2023, Lin 2024, Muhsen 2024, Lin 2023, Kopmar 2023), CIBMTR (Bezerra 2023) i GRAALL/DESCAR-T (Rabian 2023). Do wszystkich trzech badań włączano pacjentów dorosłych ( $\geq 18$  lat) z oporną lub nawrotową B-ALL.

W badaniu ROCCA obejmującym 152 pacjentów (mediana wieku 46 lat) mediana okresu obserwacji wyniosła 8,4 mies. Mediana wcześniejszych terapii wyniosła 4 – w badaniu ZUMA-3 mediana ta wynosiła 2. Remisję choroby uzyskano u 120 na 133 pacjentów (90%). Mediana czasu trwania remisji nie została osiągnięta, natomiast estymowany 6-mies. DoR wyniósł 70%, a estymowany 12-mies DoR: 62%. Mediana PFS wyniosła 8.6 mies. (estymowany 6-mies. PFS: 70%, estymowany 12-mies PFS: 62%). Mediana przeżycia całkowitego (OS) wyniosła 15.6 mies. (estymowany 6-mies. OS: 81%, estymowany 12-mies OS: 63%). Wystąpienie CRS odnotowano u 82% pacjentów.

W badaniu CIBMTR obejmującym 138 pacjentów (mediana wieku 43 lata) mediana okresu obserwacji wyniosła 5,9 mies. Mediana wcześniejszych terapii wyniosła 4 – w badaniu ZUMA-3 mediana ta wynosiła 2. Estymowany 6-mies. DoR wyniósł 70%, estymowany 6-mies. RFS: 53% a estymowany 6-mies. OS: 78%. Wystąpienie CRS odnotowano u 81% pacjentów. Remisję choroby uzyskano u 105 pacjentów (76%).

W badaniu GRAALL/DESCAR-T obejmującym 80 pacjentów (mediana wieku 43,5 roku) mediana okresu obserwacji wyniosła 13 mies. Mediana wcześniejszych terapii wyniosła 3 – w badaniu ZUMA-3 mediana ta wynosiła 2. Remisję choroby uzyskano u 49 (77%) pacjentów. Mediana RFS wyniosła 12,9 mies. natomiast mediana OS: 15,6 mies. Wystąpienie CRS odnotowano u 77% pacjentów.

Głównym ograniczeniem analizy jest brak badań randomizowanych bezpośrednio porównujących breksukabtagen autoleucel (Brex) z obranymi komparatorami umożliwiającymi przeprowadzenie analizy efektywności klinicznej dla analizowanych interwencji względem komparatora. Z tego względu w ramach analizy klinicznej przedstawiono proste zestawienie wyników bez dopasowania (ang. naive comparison) oraz analizę MAIC. Przedstawiono również wyniki porównania pośredniego Brex względem chemioterapii standardowej pochodzące z publikacji Shah 2022. Wnioskodawca odnotował heterogeniczność pomiędzy badaniem dla wnioskowanej interwencji Brex – ZUMA-3 i badaniami prezentującymi wyniki skuteczności i bezpieczeństwa dla komparatorów m.in. w zakresie populacji włączonej do każdego z badań czy też odmiennego sposobu oceny punktów końcowych lub różnic w ich definicjach. Tym samym wyniki należy klinicznie należy interpretować z ostrożnością.

Problem ekonomiczny

Celem analizy jest ocena opłacalności finansowania breksukabtagenu autoleucelu (Tecartus) w porównaniu z alternatywnymi sposobami postępowania w leczeniu dorosłych pacjentów z nawrotową lub oporną ostrą białaczką limfoblastyczną (ALL, ang. acute lymphoblastic leukaemia) wywodzącą się z prekursorów limfocytów B (B-ALL), którzy spełniają kryteria włączenia do proponowanego programu lekowego.

Wnioskodawca przeprowadził analizę kosztów użyteczności (CUA) i analizę kosztów-efektywności (dla porównania z BLINA, INO i ST) i konsekwencji kosztów (dla porównania z PONA).

*Ze względu na brak RCT dowodzących przewagi technologii wnioskowanej nad komparatorami we wnioskowanej populacji zachodzą okoliczności, o których mowa w art. 13 ust. 3 ustawy o refundacji.*

*Wnioskodawca przedstawił oszacowania ceny zbytu netto wnioskowanej technologii stanowiącej cenę, przy której koszt stosowania wnioskowanej technologii jest równy kosztowi stosowania refundowanego komparatora o najniższym CER.*

*Przeprowadzona przez wnioskodawcę analiza ekonomiczna charakteryzuje się ograniczeniami.*

*Celem analizy wpływu na budżet jest oszacowanie wydatków płatnika publicznego (NFZ) w przypadku podjęcia pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych leku Tecartus (breksukabtagen autoleucel) w leczeniu dorosłych pacjentów w wieku  $\geq 26$  lat z nawrotową lub oporną ostrą białaczką limfoblastyczną wywodzącą się z prekursorów limfocytów B (B-ALL) w ramach programu lekowego „Leczenie chorych na ostrą białaczkę limfoblastyczną (ICD-10:C91.0)”.*

*Prognozowana łączna liczba chorych stosujących leczenie Tecartus (breksukabtagen autoleucel) w wariacie prawdopodobnym scenariusza nowego wynosi*

Analiza wpływu na budżet została oparta o założenia i modelowanie analizy ekonomicznej. Tym samym ograniczenia analizy ekonomicznej są również ograniczeniami niniejszej analizy wpływu na budżet. Ponadto należy podkreślić oparcie części oszacowań populacji oraz zmian w rynku [REDACTED]

[REDACTED] Niemniej należy podkreślić, że dane otrzymane przez wnioskodawcę oraz dane przedstawione przez ekspertów ankietowanych przez Agencję są zbliżone.

Eksperci ankietowani przez AOTMiT nie zgłosili uwag do treści proponowanego programu lekowego.

W wyniku wyszukiwania odnaleziono pozytywne rekomendacje poniższych organizacji: NICE z 2023 r., CADTH z 2023 r., IQWiG z 2022 r., HAS z 2023 r. oraz SMC z 2023 r. W rekomendacjach podkreślano m.in. niepewności związane z zakresem dowodów naukowych (m.in.: brak badań bezpośrednio porównujących BEXX z obranymi komparatorami oraz ograniczenia związane z przeprowadzonym porównaniem MAIC), niedojrzałość danych w zakresie przeżycia całkowitego i przeżycia wolnego od nawrotu choroby oraz ograniczenia analizy ekonomicznej (porównania pośrednie).

#### Główne argumenty decyzji

- Dowody naukowe ograniczone do badania bez grupy kontrolnej, ale wskazujące na potencjalnie znaczną korzyść kliniczną;
- Dane wskazujące na dużą skuteczność praktyczną terapii;
- Koszt terapii Tecartus wyższy niż alternatywnych technologii;
- Wysoki koszt dla płatnika publicznego;
- Postępowanie zalecane w niektórych wytycznych postępowania klinicznego w leczeniu zaawansowanych postaci choroby, po przeszczepie, po terapii drugiej i lub trzeciej linii;
- Dostępność tej formy terapii dla chorych poniżej 26 r.ż. w ramach programu lekowego.

#### Uwaga Rady

Rada dostrzega rozbieżność tego stanowiska ze stanowiskiem nr 7/2021 z dnia 25 stycznia 2021 r. w sprawie oceny leku Kymriah. Wynika ona m.in. ze zgromadzonych w międzyczasie doświadczeń z taką formą terapii.

#### **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.423.1.13.2024 „Wniosek o objęcie refundacją leku Tecartus (breksukabtagen autoleucel) w ramach programu lekowego: »Leczenie chorych na ostrą białaczkę limfoblastyczną (ICD-10:C91.0)«, data ukończenia: 6 czerwca 2024 r.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy Gilead Sciences Poland Sp. z o.o.

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem Gilead Sciences Poland Sp. z o.o.

**Podstawa prawna wyłączenia jawności:** art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2022 r., poz. 902) w zw. z art. 11 ust. 2 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2022 r., poz. 1233), 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.)<sup>1)</sup> 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.)<sup>2)</sup>.

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

**Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności:** Gilead Sciences Poland Sp. z o.o.



## Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 59/2024 z dnia 17 czerwca 2024 roku

w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego S.O.S. 10, S.O.S. 15, S.O.S. 20, S.O.S. 25 we wskazaniach: uzupełnienie diety w prawidłowym zbilansowaniu dziennego zapotrzebowania na energię i stabilizacji w przebiegu acydurii propionowej, acydurii glutarowej, acydurii metylomalonowej, hiperamonemii pierwotnej, deficycie LCHAD, deficycie VLCAD, lizynurycznej nietolerancji białka, glikogenozie, chorobie syropu klonowego, deficycie CPS1

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego S.O.S. 10, S.O.S. 15, S.O.S. 20, S.O.S. 25 we wskazaniach: uzupełnienie diety w prawidłowym zbilansowaniu dziennego zapotrzebowania na energię i stabilizacji w przebiegu acydurii propionowej, acydurii glutarowej, acydurii metylomalonowej, hiperamonemii pierwotnej, deficycie LCHAD, deficycie VLCAD, lizynurycznej nietolerancji białka, glikogenozie, chorobie syropu klonowego, deficycie CPS1.*

### Uzasadnienie

#### Problem decyzyjny

*W 2021 r. Rada Przejrzystości wydała negatywne stanowisko (nr 31/2021), a Prezes Agencji negatywną rekomendację (nr 31/2021), w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację w ramach importu docelowego wskazanych środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego we wskazaniu: uzupełnienie diety w acydurii propionowej, acydurii glutarowej, acydurii metylomalonowej, hiperamonemii pierwotnej, deficycie LCHAD, deficycie VLCAD.*

*W ramach niniejszego zlecenia Minister Zdrowia zwrócił się o zbadanie zasadności wydawania zgód na refundację wymienionych śsspż w tych samych wskazaniach, a także w lizynurycznej nietolerancji białka, glikogenozie, chorobie syropu klonowego i deficycie CPS1.*

*Oceniana interwencja jest stosowana w chorobach rzadkich jako terapia awaryjna. Zgodnie z treścią ulotki produkt S.O.S. należy stosować pod ścisłą*



kontrolą lekarską wyłącznie u pacjentów ze zdiagnozowanymi wrodzonymi wadami metabolicznymi. Produkt ten nie może być jedynym źródłem pożywienia.

#### Dowody naukowe

Odnalezione wytyczne praktyki klinicznej zalecają, by w procedurze awaryjnej przerwać podawanie naturalnych białek na 24-48 godzin (syntetyczna dieta niebiałkowa) oraz zapewnić zapotrzebowanie kaloryczne za pomocą węglowodanów – w postaci doustnych roztworów glukozy, maltodekstryny, mieszanek węglowodanów u pacjentów lub w postaci dożylnych infuzji roztworu glukozy. Polimer glukozy został wskazany w wytycznych BIMDG 2017 dotyczących dietetycznej ścieżki postępowania w chorobie syropu klonowego oraz w wytycznych Forny 2021 odnoszących się do diagnostyki i leczenia acyduirii propionowej i metylomalonowej.

Polskie Zalecenia dietetyczne 2020 nie odnoszą się do zastosowania napoju węglowodanowego, jednak zalecają, aby węglowodany stanowiły 65% zapotrzebowania kalorycznego (podanie dojelitowe) we wszystkich typach glikogenozy. Z kolei Zalecenia dietetyczne w pediatrii 2020 w ramach leczenia choroby syropu klonowego zalecają stosowanie syntetycznej diety niebiałkowej.

W wyniku przeprowadzonych wyszukiwań nie odnaleziono nowych badań spełniających kryteria włączenia. W świetle publikacji Gokmen-Ozel 2010, opisującej badanie kliniczne przeprowadzone u 47 pacjentów z chorobami metabolicznymi, mające na celu porównanie różnych sposobów przygotowania mieszanki węglowodanowej pod kątem sposobu generującego najmniejszą liczbę błędów, stosowanie preparatu w saszetkach zawierających odmierzoną dawkę (w tym preparatu S.O.S.) pozwoliło zmniejszyć liczbę błędów podczas przygotowywania napoju, a w konsekwencji obniżyć ryzyko nietolerancji pokarmowej, biegunki osmotycznej, a w konsekwencji dekompensacji metabolicznej i encefalopatii.

#### Problem ekonomiczny

W okresie od stycznia 2023 r. do kwietnia 2024 r. wydano łącznie 15 zgód na refundację w ramach importu docelowego produktów S.O.S. dla 9 pacjentów, a łączna kwota refundacji dotycząca 97 opakowań wyniosła 12 889,77 zł.

Nie jest możliwe dokładne oszacowanie liczebności populacji docelowej, aczkolwiek dane z dostępnych źródeł wskazują na bardzo małą grupę pacjentów.

Koszt opakowania produktu S.O.S. waha się od około 90 do 158 zł. Koszt 1 g produktu to w przypadku S.O.S. 10 – 0,17 zł, S.O.S. 15 – 0,09 zł, S.O.S. 20 – 0,09 zł, a S.O.S. 25 – 0,1 zł. Natomiast cena dostępnego w Polsce, lecz nierefundowanego, produktu Fantomalt to około 48-58 zł za opakowanie 400 g, czyli od 0,12 do 0,15 zł za 1 g.

### Główne argumenty decyzji

*Stanowisko Rady Przejrzystości z 2021 r. opierało się na założeniu, że śsspż S.O.S. ma takie samo zastosowanie, jak dostępny na rynku polskim produkt Fantomalt, którego cena jest istotnie niższa. Nie ma zatem podstaw do sprowadzania z zagranicy innego preparatu, o nieudowodnionej przewadze klinicznej względem preparatu dostępnego. W ramach obecnej oceny ustalono natomiast, że koszt ocenianej interwencji jest zbliżony lub niższy niż produktu Fantomalt. Pozyskana opinia eksperta klinicznego podkreśla zaś, że prawidłowo zbilansowana dieta, z zastosowaniem ocenianego preparatu, zwiększa komfort życia pacjentów i zapobiega dekompensacjom metabolicznym. Finansowanie tego produktu nie tylko nie obciąży zasadniczo budżetu płatnika, ale też spowoduje oszczędności na wydatkach wynikających z incydentów dekompresji.*

### Uwaga Rady

*Zmiana stanowiska Rady w porównaniu do stanowiska nr 31/2021 wynika ze zrównania ceny produktu Fantomalt z produktem S.O.S. i z pozytywnych opinii ekspertów.*

### **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 2024 r., poz. 146) 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. 826 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania nr: OT.4211.7.2024 (Aneks do opracowania nr: OT.4311.16.2020) „S.O.S. 10, S.O.S. 15, S.O.S. 20, S.O.S. 25 we wskazaniach: uzupełnienie diety w prawidłowym zbilansowaniu dziennego zapotrzebowania na energię i stabilizacji w przebiegu acydurii propionowej, acydurii glutarowej, acydurii metylomalonowej, hiperamonemii pierwotnej, deficycie LCHADD, deficycie VLCA, lizynurycznej nietolerancji białka, glikogenozy, chorobie syropu klonowego, deficycie CPS1”, data ukończenia: 13 czerwca 2024 r.



Opinia Rady Przejrzystości  
nr 92/2024 z dnia 17 czerwca 2024 roku  
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną  
prednisonum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania,  
lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce  
Produktu Leczniczego, tj. eozynofilowe zapalenie jelit u dzieci  
do 18 r.ż.

*Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną prednisonum we wskazaniu pozarejestacyjnym: eozynofilowe zapalenie jelit u dzieci do 18 r.ż.*

**Uzasadnienie**

*Wytyczne kliniczne odnoszące się do autoimmunizacyjnego zapalenia wątroby (AIH, ang. autoimmune hepatitis): HAS 2022 i AALSD 2020 oraz ESPGHAN 2018 wskazują, że leczeniem pierwszej linii powinny być glikokortykosteroidy (prednizon lub prednizolon) z lub bez dodatku azatiopryny.*

*Wytyczne wyraźnie wskazują na istotne znaczenie zastosowania produktów leczniczych zawierających ww. substancję czynną w zakresie wskazań do stosowania, sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego. Ponadto substancja czynna, która jest przedmiotem niniejszej opinii, była wielokrotnie pozytywnie opiniowana przez Radę Przejrzystości, które wielokrotnie rekomendowała finansowanie ww. substancji czynnej.*

*W okresie od sporządzenia poprzedniego raportu w tej sprawie (OT.4321.30.2021) nie ukazały się żadne publikacje, wytyczne, ani zalecania, które mogłyby mieć wpływ na wcześniejszą opinię.*

**Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 40 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 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych

ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem opracowania nr: OT.422.1.21.2024 (aneks do opracowania nr OT.4321.30.2021) „Prednizon we wskazaniu: eozynofilowe zapalenie jelit u dzieci do 18 r.ż.”; data ukończenia: 13.06.2024 r.



## Opinia Rady Przejrzystości

nr 93/2024 z dnia 17 czerwca 2024 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną salbutamol w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj. bradykardia u dzieci do 18 roku życia

*Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną salbutamol we wskazaniu pozarejestacyjnym: bradykardia u dzieci do 18 roku życia.*

### Uzasadnienie

*Syrop Salbutamol Hasco jest jedynym produktem leczniczym zawierającym salbutamol, refundowanym w leczeniu bradykardii u dzieci do 18 r.ż. Jest on finansowany w ocenianym wskazaniu od 1 marca 2012 r.*

*Produkt leczniczy w postaci syropu zawierający substancję czynną salbutamol był oceniany w przedmiotowym wskazaniu także w 2013, 2015, 2018 i 2021 roku.*

*W 2013 roku Rada Przejrzystości wydała pozytywną opinię dotyczącą finansowania produktów leczniczych zawierających salbutamol w bradykardii u dzieci do 18 roku życia.*

*W 2015 roku Rada uznała dalsze finansowanie ze środków publicznych za niezasadne, uzasadniając swoje stanowisko w sposób następujący: „Salbutamol skutecznie przyspiesza rytm zatokowy, ale brakuje dowodów na korzyść i bezpieczeństwo jego stosowania w tym wskazaniu i w tej populacji”.*

*W 2018 roku Rada wydała z kolei opinię pozytywną dotyczącą stosowania salbutamolu w w/w wskazaniu uzasadniając leczenie „praktyką kardiologów dziecięcych oraz możliwym opóźnieniem w implantacji układu stymulującego na skutek przyjmowania salbutamolu”.*

*W 2021 roku Rada wydała opinię negatywną uzasadniając ją brakiem wytycznych i algorytmów odnoszących się do stosowania salbutamolu w ocenianym wskazaniu oraz brakiem dowodów naukowych o dobrej jakości potwierdzających taką praktykę.*

*Dowodów takich nie odnaleziono także w trakcie obecnej aktualizacji raportu AOTMiT tj. nie zidentyfikowano żadnych nowych publikacji, wyników badań, zaleceń dotyczących stosowania salbutamolu w ww. wskazaniu.*

*Z poprzednich raportów AOTMiT (OT.4321.4.2018) wynika jednak, że lek ma ugruntowaną pozycję w leczeniu dzieci z bradykardią w Polsce, uzyskał pozytywną opinię eksperta leczącego zaburzenia rytmu serca u dzieci i stanowi uzupełnienie dostępnej i refundowanej farmakoterapii w ww. wskazaniu. Dodatkowo utrzymanie jego refundacji w ww. wskazaniu, przy bardzo małej grupie docelowej i niskiej cenie zakupu oraz wobec faktu, że leczenie nim jest ograniczone w czasie (nie jest terapią docelową) ma znikome znaczenie dla budżetu płatnika.*

#### Główne argumenty decyzji

- *Ugruntowana pozycja leku w polskiej kardiologii dziecięcej.*
- *Znikomy wpływ utrzymania refundacji na budżet wobec małej grupy docelowej pacjentów i niskiej ceny leku.*

#### **Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 40 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 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem opracowania nr: OT.422.1.19.2024 (aneks do opracowania nr OT.4321.34.2021) „Salbutamol we wskazaniu: bradykardia u dzieci do 18 roku życia”; data ukończenia: 13.06.2024 r.



## Opinia Rady Przejrzystości

nr 94/2024 z dnia 17 czerwca 2024 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną amantadyna w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj. dyskineza późna u osób dorosłych – leczenie

*Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji produktów leczniczych zawierających substancję czynną amantadyna we wskazaniu pozarejestacyjnym: dyskineza późna u osób dorosłych – leczenie.*

### Uzasadnienie

*Rada Przejrzystości dwukrotnie pozytywnie opiniowała zasadność refundacji leków zawierających amantadynę w ww. wskazaniu pozarejestacyjnym. Ostatnia opinia Rady została wydana dn. 19 lipca 2021 roku (100/2021).*

*Wcześniej odnalezione rekomendacje kliniczne (PTN 2017 i AAN 2018) zalecają stosowanie amantadyny, także w połączeniu z lekami neuroleptycznymi, jako uzupełnienie leczenia dyskinez późnych. Wytyczne kanadyjskie (CPA 2019) wskazują, że amantadyna może być brana pod uwagę w leczeniu dyskinezy późnej, jeśli bardziej ugruntowane metody leczenia są przeciwwskazane lub nieskuteczne.*

*Obecne opracowanie AOTMiT, stanowiące aktualizację danych w zakresie istnienia nowych wytycznych praktyki klinicznej oraz nowych dowodów naukowych na potrzeby oceny skuteczności i bezpieczeństwa analizowanej technologii medycznej, nie zawiera danych, które mogłyby stanowić podstawę zmiany dotychczasowego wnioskowania.*

*Biorąc pod uwagę powyższe, Rada uznaje za zasadną kontynuację refundacji produktów leczniczych zawierających amantadynę w omawianym wskazaniu pozarejestacyjnym.*

**Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 40 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 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr: OT.422.1.20.2024 (aneks do opracowania nr OT.4321.2.2021) „Amantadyna we wskazaniu: dyskineza późna u osób dorosłych – leczenie”, data ukończenia: 11.06.2024 r.





Opinia Rady Przejrzystości  
nr 95/2024 z dnia 17 czerwca 2024 roku  
o projekcie programu „Profilaktyka i wczesne wykrywanie raka jądra  
wśród mężczyzn w wieku 20-39 lat, zamieszkałych w Poznaniu,  
w latach 2024-2026”

*Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Profilaktyka i wczesne wykrywanie raka jądra wśród mężczyzn w wieku 20-39 lat, zamieszkałych w Poznaniu, w latach 2024-2026”.*

**Uzasadnienie**

*Przedmiotem oceny był projekt programu polityki zdrowotnej zaplanowany do realizacji przez Miasto Poznań, zakładający przeprowadzenie działań w kierunku wczesnego wykrywania raka jądra. Okres realizacji programu został wyznaczony na lata 2024-2026 z możliwością kontynuacji.*

*Rak jądra jest najczęstszym nowotworem wśród młodych mężczyzn w wieku od 15 do 40 lat. Ogółem, jest to rzadki nowotwór i stanowi około 1% nowotworów u dorosłych oraz 5% nowotworów urologicznych. W 2020 roku Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem (ang. International Agency for Research of Cancer, IARC) zarejestrowała 74 458 nowych przypadków na całym świecie. Wskaźniki zachorowalności różnią się znacznie na całym świecie, wynosząc od 3 do 12 nowych przypadków na 100 000 mężczyzn rocznie w społeczeństwach zachodnich.*

*Wnioskodawca pobieżnie przedstawił opis problemu zdrowotnego, wskazując na definicję raka jądra, jego klasyfikację oraz czynniki ryzyka. Wśród czynników ryzyka wymieniono: „dziedziczność”, „wady rozwojowe jąder”, „ekspozycję na czynniki środowiskowe” oraz „wiek”. W odniesieniu do wieku wskazano, że „wystąpienie raka jądra jest najczęstsze u młodych mężczyzn w wieku od około 15 do 35 lat, co sugeruje, że wiek może być również czynnikiem ryzyka”. W projekcie programu przedstawiono sytuację epidemiologiczną korespondującą z wybranym problemem zdrowotnym. Odniesiono się do danych światowych, ogólnopolskich, regionalnych oraz lokalnych. Wnioskodawca w treści projektu nie odniósł się do Map potrzeb zdrowotnych (MPZ).*

Głównym założeniem projektu programu było: „zwiększenie w latach 2024-2026 o ok. 3,5% odsetka mężczyzn z populacji w wieku 20-39 lat zamieszkałych w Poznaniu, którym zapewniono łatwy dostęp do badań z zakresu profilaktyki i wczesnego wykrywania raka jądra”. Należy zaznaczyć, że cel główny powinien być wyraźnie zdefiniowany i precyzyjnie (w odniesieniu do planowanego czasu) wytyczony, a jego osiągnięcie powinno stanowić potwierdzenie skuteczności zaplanowanych działań. Cel główny wskazany w projekcie odnosi się do zwiększenia dostępu do świadczeń z zakresu profilaktyki i wczesnego wykrywania raka jądra. Należy zaznaczyć, że samo zapewnienie dostępu do świadczeń nie musi przekładać się na uzyskanie efektu zdrowotnego. Ponadto, wnioskodawca nie przedstawił uzasadnienia dla założonej wartości docelowej dla celu głównego. W projekcie programu zaproponowano 4 mierniki efektywności, tj. (1) „odsetek mężczyzn z populacji w wieku 20-39 lat zamieszkałych w Poznaniu, którym w latach 2024-2026 zapewniono łatwy dostęp do badań z zakresu profilaktyki i wczesnego wykrywania raka jądra”, (2) „odsetek mężczyzn, u których uzyskano lub utrzymano wysoki poziom wiedzy teoretycznej i praktycznej w zakresie profilaktyki pierwotnej i wtórnej raka jądra – odsetek uczestników, u których w post-teście odnotowano wysoki poziom wiedzy, względem wszystkich uczestników, którzy wypełnili test”, (3) „odsetek mężczyzn z podwyższonym ryzykiem zachorowania na raka jądra z populacji docelowej programu w latach 2024-2026, u których zmniejszono ryzyko zachorowania poprzez działania edukacyjne i interwencyjne” oraz (4) „liczba mężczyzn w latach 2024-2026, do których dotrze przekaz nt. profilaktyki i wczesnego wykrywania raka jądra za pośrednictwem kampanii edukacyjnych prowadzonych z wykorzystaniem narzędzi internetowych”.

Należy zaznaczyć, że zgodnie z definicją mierniki efektywności powinny umożliwiać obiektywną i precyzyjną ocenę stopnia realizacji założonych prawidłowo celów oraz powinny być istotnym odzwierciedleniem zdarzeń lub faktów występujących w danym programie wyrażonych w odpowiednich jednostkach miary. Miernik nr 2 dotyczy celu szczegółowego nr 1. Miernik nr 3 został sformułowany w sposób nieprawidłowy. Mierniki nr 1 oraz 4 nie odnoszą się do celów programu, ale mogą zostać wykorzystane w ramach monitorowania zgłaszalności. Należy jednocześnie zaznaczyć, że w przypadku miernika nr 4 należałoby również określić sposób, w jaki wnioskodawca zamierza uzyskać informacje w zakresie liczby mężczyzn, którzy skorzystają z działań edukacyjnych prowadzonych za pośrednictwem Internetu.

Populację docelową opiniowanego projektu stanowią mężczyźni w wieku 20-39 lat (w zakresie działań profilaktycznych) oraz powyżej 15 r.ż. (w zakresie edukacji pośredniej) mieszkający na terenie Poznania. Liczebność populacji mężczyzn między 20 a 39 r.ż. kwalifikujących się do udziału w programie oszacowano na 82 451 osób. Liczebność populacji mężczyzn powyżej 15 r.ż. oszacowano

na 215 248 osób. W opisie budżetu programu wskazano, że programem można objąć 1 000 osób rocznie (3 000 osób w trakcie trwania programu), co stanowi ok. 3,64% populacji docelowej. Natomiast w innym miejscu wniosku zaznaczono, że uczestnicy będą przyjmowani do momentu osiągnięcia limitu osób zadeklarowanego w ofercie konkursowej przez realizatora/realizatorów programu oraz że „program obejmie wszystkich mężczyzn z populacji docelowej spełniających kryteria włączenia, do wyczerpania środków finansowych przeznaczonych na realizację zaplanowanych interwencji”.

Wśród kryteriów kwalifikacji wskazano: wiek (między 20 a 39 r.ż.), miejsce zamieszkania na terenie Poznania (stałe lub czasowe, weryfikowane na podstawie stosownych zaświadczeń lub oświadczeń), rozliczanie podatku dochodowego za poprzedni rok na terenie Poznania (weryfikowane na podstawie stosownych dokumentów przedstawianych do wglądu; w przypadku pozostawania na utrzymaniu rodziców/opiekunów – rozliczanie podatku na terenie Poznania przez przynajmniej jednego z rodziców/opiekunów), brak przeciwwskazań do wykonania badania USG (stałych lub czasowych; w przypadku czasowych będzie istniała możliwość ustalenia późniejszego terminu wizyty) oraz podpisanie zgody na udział w programie (wzór formularza został załączony do projektu i nie budzi zastrzeżeń). Wnioskodawca zaznaczył, że udział w programie będzie możliwy jedynie dla osób spełniających wszystkie ww. kryteria, a o udziale decydować będzie kolejność zgłoszeń.

Warto zaznaczyć, że towarzystwa naukowe wskazują na częstsze występowanie raka jądra wśród mężczyzn w określonym wieku. Association Française d'Urologie wskazuje, że szczyt zachorowań na guzy zarodkowe jądra przypada na wiek 30-34 lat (AFU 2022). Konsensus Niemieckich Ekspertów zaznacza natomiast, że u mężczyzn w wieku od 20 do 44 lat nowotwory zarodkowe stanowią ok. 25% wszystkich nowotworów (KNE 2021). Canadian Cancer Society oraz American Cancer Society zaznaczają, że większość nowotworów jądra diagnozuje się u mężczyzn w wieku od 20 do 35 lat, przy czym nowotwór ten może pojawić się w każdym wieku (CCS 2021, ACS 2018).

W ramach PPZ zaplanowano przeprowadzenie działań informacyjno-edukacyjnych (w formie edukacji pośredniej skierowanej do mężczyzn powyżej 15 r.ż. oraz indywidualnej edukacji bezpośredniej realizowanej wśród zakwalifikowanych do programu mężczyzn między 20 a 39 r.ż.), kwalifikację do programu, realizację konsultacji lekarskich (w tym ww. edukacji bezpośredniej, a także badań palpacyjnych oraz USG jąder).

Pośrednie działania edukacyjne skierowane zostaną do mężczyzn powyżej 15 r.ż. z populacji ogólnej miasta Poznania. Wśród proponowanych form prowadzonych działań wymieniono: utworzenie strony internetowej i profili w mediach społecznościowych (zawierających m.in. instrukcje samobadania jąder), animacje lub filmy instruktażowe dotyczące samobadania, publikację artykułów

*i postów na portalach i blogach (omawiających znaczenie wczesnego wykrywania raka jądra i sposoby samobadania), organizację transmisji na żywo w mediach społecznościowych (w ramach których lekarze lub eksperci będą udzielać porad w zakresie samobadania jąder i odpowiadać na pytania użytkowników), współpracę z lokalnymi mediami (w tym z prasą, portalami, telewizją i stacjami radiowymi), a także dystrybucję broszur i ulotek informacyjnych (zawierających informacje nt. znaczenia wczesnego wykrywania raka jądra, dystrybuowanych np. w placówkach opieki zdrowotnej, na uczelniach, w urzędach i klubach sportowych).*

*Działania z zakresu edukacji bezpośredniej skierowane będą natomiast do mężczyzn między 20 a 39 r.ż., zakwalifikowanych do udziału w programie i realizowane w ramach konsultacji (opisanych w dalszej części komentarza analitycznego).*

*Zaplanowano również, że wśród uczestników edukacji bezpośredniej przeprowadzony zostanie pomiar poziomu wiedzy, na podstawie pre- i post-testów, co jest działaniem zasadnym. Wnioskodawca zaznaczył, że za przygotowanie i przeprowadzenie testów odpowiedzialny będzie realizator. Niemniej jednak do projektu dołączono wzory ww. testów. Należy wskazać, że test zawiera bardzo proste pytania, a zaproponowane odpowiedzi niejednokrotnie bezpośrednio sugerują wybór prawidłowej opcji. Z kolei niektóre pytania nie zawierają prawidłowych odpowiedzi.*

*Należy zaznaczyć, że w ramach badania pierwotnego Akcali 2023 włączonego do przeglądu systematycznego Saab 2023, wykazano wpływ interwencji edukacyjnych na istotny statystycznie wzrost poziomu wiedzy mężczyzn nt. chorób jąder i konieczności samobadania (w wyniku realizacji działań polegających na wykładach z wykorzystaniem prezentacji i filmu oraz 40-minutowej sesji szkoleniowej w oparciu o model odwróconej klasy, obejmujące informacje nt. budowy jąder, objawów nowotworu, czynników ryzyka i metod diagnostycznych w kierunku raka jądra oraz znaczenia samobadania) w porównaniu z grupą kontrolną, w której przeprowadzono jedynie tradycyjne wykłady w formie prezentacji multimedialnej ( $p < 0,05$ ).*

*Część towarzystw naukowych zaleca badania przesiewowe w formie samobadania jąder w populacji młodych mężczyzn (EAU 2024, CCS 2021, CR UK 2021, KNE 2021). Natomiast RACGP wskazuje, że nie ma wystarczających dowodów, aby rutynowo przeprowadzać badania przesiewowe w kierunku raka jądra za pomocą samobadania. Towarzystwo podkreśla także, że nie ma większego prawdopodobieństwa wykrycia nowotworu we wczesnym stadium w przypadku osób przeprowadzających samobadanie jąder. Ponadto, samobadanie nie wpływa na zwiększenie przeżycia u osób w porównaniu do osób, które tego nie robią (RACGP 2021).*

Kolejną interwencją zaplanowaną do realizacji w ramach programu są konsultacje, w ramach których oprócz opisanych wcześniej działań z zakresu edukacji bezpośredniej, przeprowadzona zostanie również diagnostyka w kierunku raka jądra.

W ramach działań diagnostycznych zaplanowano wykonanie przez lekarza badania palpacyjnego pod kątem obecności guzków, nierówności, opuchlizny lub innych nieprawidłowości w obrębie jąder. Następnie, zgodnie z treścią projektu, w celu potwierdzenia występowania nieprawidłowości stwierdzonych w badaniu palpacyjnym oraz w celu oceny rozmiaru, lokalizacji i charakterystyki zmian, przeprowadzone zostanie badanie USG obu jąder i struktur wokół nich (nasieniowodów i naczyń krwionośnych).

W ramach przeprowadzonego na potrzeby niniejszego raportu wyszukiwania wtórnych dowodów naukowych w zakresie zasadności realizacji badań przesiewowych w kierunku raka jądra, a także skuteczności i bezpieczeństwa tego typu działań (opublikowanych na przestrzeni ostatnich 10 lat), odnaleziono jedynie dwa przeglądy systematyczne dotyczące tej tematyki (IQWiG 2021 oraz Bueno 2017). W obu przeglądach nie odnaleziono jednak żadnych badań odnoszących się do korzyści i szkód wynikających z realizacji badań przesiewowych w kierunku raka jądra, ani też do ich skuteczności klinicznej.

Autorzy przeglądu systematycznego przeprowadzonego na potrzeby raportu HTA przygotowanego przez niemiecki Instytut Jakości i Efektywności w Ochronie Zdrowia (IQWiG, niem. Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen), z uwagi na brak jakichkolwiek badań oceniających wpływ realizacji badań przesiewowych w kierunku raka jądra (przy użyciu badania palpacyjnego w połączeniu z USG lub samobadania) w populacji bezobjawowych mężczyzn powyżej 16 r.ż. na takie punkty końcowe jak śmiertelność z powodu raka jądra, przeżycie całkowite, zdarzenia niepożądane, czy też jakość życia związaną ze zdrowiem, dokonali powtórnego wyszukiwania w kierunku dowodów w zakresie jakości diagnostycznej badań przesiewowych. Tym razem jako komparator zastosowano badanie referencyjne w postaci oceny histologicznej zamrożonego pobranego wycinka jądra lub jądra po resekcji. Ponownie jednak nie odnaleziono żadnego badania spełniającego wszystkie kryteria włączenia i dostarczającego użytecznych danych na temat jakości badanych metod przesiewowych w populacji bezobjawowej. Odnaleziono natomiast badania pierwotne, które odnosiły się do informacji nt. dodatniej wartości predykcyjnej (PPV) badań diagnostycznych, a także do odsetka zabiegów diagnostycznych i leczniczych (w tym resekcji jądra), które okazały się niepotrzebne. Należy jednak zaznaczyć, że w znacznej większości, odnalezione badania dotyczyły populacji wstępnie wyselekcjonowanej (np. z określonymi objawami), a nie populacji bezobjawowej. We wnioskach z raportu wskazano, że teoretyczna maksymalna korzyść wynikająca pośrednio z badań

epidemiologicznych, które uzyskano w dodatkowym wyszukiwaniu, jest stosunkowo niewielka w porównaniu z innymi nowotworami. Rak jądra występuje rzadko i nawet w przypadku braku rutynowych badań przesiewowych, w większości przypadków jest wykrywany w stosunkowo wczesnym stadium i można go leczyć z odpowiednio wysokim wskaźnikiem wyleczenia. Autorzy raportu wskazali również, że obecnie nie można rekomendować rutynowych badań przesiewowych w kierunku raka jądra u mężczyzn w wieku powyżej 16 r.ż. Dotyczy to zarówno interwencji w postaci samobadania jąder, jak i klinicznego badania palpacyjnego/USG moszny. Niskim potencjalnym korzyściom towarzyszą potencjalne szkody wynikające z wdrażania niepotrzebnych zabiegów. Niezłote zmiany w obrębie jąder, często wykrywane w wyniku ukierunkowanych badań, mogą wywoływać niepokój u dotkniętych nimi mężczyzn i czasami wiązać się z niepotrzebnym zużyciem zasobów ochrony zdrowia. Szczególnie w przypadku badań realizowanych przez lekarza możliwe jest, że oczekiwana szkoda spowodowana dodatkowymi, niepotrzebnymi inwazyjnymi badaniami przewyższy oczekiwane korzyści, biorąc pod uwagę całą populację docelową. Dlatego też badanie palpacyjne i USG moszny do celów badań przesiewowych nie powinny być oferowane ani jako standardowe świadczenie finansowane ze środków publicznych, ani też jako świadczenie w ramach prywatnej opieki zdrowotnej. Samobadanie jąder jest interwencją prawdopodobnie mniej szkodliwą. Uzasadnione zatem wydaje się, aby młodzi mężczyźni zaniepokojeni ryzykiem zachorowania na raka jądra regularnie przeprowadzali samobadanie po uprzedniej, odpowiedniej edukacji w tym zakresie. Jednocześnie powinni oni zostać poinformowani o braku bezpośrednich dowodów na potencjalne korzyści i szkody wynikające z samobadania oraz poinstruowani nt. prawidłowego sposobu jego przeprowadzania (IQWiG 2021).

Również odnalezione wytyczne towarzystw naukowych wskazują na brak zasadności realizacji badań przesiewowych w kierunku raka jądra w populacji bezobjawowych mężczyzn (AAFP 2024, EAU 2024, NCI 2024, CR UK 2021, KNE 2021, RACGP 2021, ESMO 2018). W uzasadnieniu dla ww. zaleceń wymienia się brak wysokiej jakości dowodów naukowych oceniających korzyści i szkody płynące z badań przesiewowych w kierunku raka jądra (EAU 2024, RACGP 2021, ESMO 2018), a także brak korzyści wynikających z realizacji tego typu badań, ze względu na niską częstość występowania raka jądra i wysoki odsetek wyleczeń, nawet u pacjentów z zaawansowaną chorobą oraz potencjalne szkody, do których zalicza się m.in. fałszywie dodatnie wyniki oraz wdrażanie niepotrzebnych procedur diagnostycznych i/lub leczniczych (AAFP 2024, NCI 2024, CR UK 2021).

Niektóre towarzystwa naukowe zalecają realizację badań przesiewowych (w tym samobadania jąder) w populacji mężczyzn, u których występuje zwiększone

ryzyko raka jądra tj. wnetrostwo w wywiadzie oraz obecność raka jądra w historii osobistej lub rodzinnej (EAU 2024, ESMO 2018).

Projekt programu zakłada przeprowadzenie jego monitorowania i ewaluacji. Wnioskodawca w treści projektu wskazał, że „informacje dotyczące liczby uczestników zostaną odniesione do wartości liczbowych wynikających z harmonogramu akcji i zakładanej populacji docelowej” oraz zaznaczył, że „wskaźniki mające zastosowanie w monitorowaniu programu polityki zdrowotnej zostaną wybrane przez Realizatora/Realizatorów oraz Organizatora i zostaną ustalone w ramach szczegółowej umowy na realizację programu”. Wśród wskaźników, które mogą zostać poddane ocenie wymieniono: „liczbę osób, które zgłosiły się na badania przesiewowe w ramach programu”, „liczbę uczestników programu w poszczególnych etapach jego realizacji”, „liczbę osób niezakwalifikowanych do udziału w programie z powodu przeciwwskazań lekarskich”, „liczbę osób, które zrezygnowały z udziału w programie w trakcie jego realizacji”, „liczbę osób poddanych działaniom informacyjno-edukacyjnym w zakresie raka jądra”, „liczbę uczestników programu, do których skierowane były wyłącznie działania z zakresu edukacji” oraz „liczbę osób skierowanych do poradni specjalistycznych celem dalszej diagnostyki i leczenia”. Należy wskazać, że ww. wskaźniki zostały zaplanowane w sposób prawidłowy.

W kontekście oceny jakości świadczeń wskazano na przeprowadzenie ankiety satysfakcji. Wnioskodawca podkreśla także, że ocena jakości świadczeń może zostać dokonana przez zewnętrznego eksperta w dziedzinie onkologii lub urologii, np. konsultanta wojewódzkiego. Wskazano również, że ocenie podlegać może całość programu, ze szczególnym uwzględnieniem przyjętej metodologii oraz zastosowanych rozwiązań w odniesieniu do możliwości realizacji założonych celów.

Wnioskodawca wskazał, że do oceny efektywności programu będą mogły zostać wykorzystane „mierniki epidemiologiczne rutynowo stosowane w analogicznych interwencjach” dotyczące np. wskaźników zapadalności i chorobowości w zakresie raka jądra. Należy wskazać, że ewaluacja programu powinna opierać się na porównaniu stanu sprzed wprowadzenia działań w ramach programu, a stanem po jego zakończeniu, co zostało częściowo uwzględnione w projekcie programu.

Całkowity budżet programu oszacowano na 1 050 000 zł (350 000 zł rocznie). W treści projektu nie wskazano źródeł finansowania. Jedynie w odniesieniu do kosztów koordynacji i zarządzania programem wskazano, że będą one „po stronie Organizatora programu”.

Za opinią negatywną przeważały następujące argumenty:

1. Realizacja badań przesiewowych w kierunku raka jądra w populacji bezobjawowej nie jest zgodna z rekomendacjami/wytycznymi towarzystw naukowych.
2. USG jąder jest badaniem dostępnym w ramach świadczeń gwarantowanych.
3. Opisanie problemu zdrowotnego w sposób pobieżny bez odniesienia się do Map potrzeb zdrowotnych.
4. Nieprawidłowo sformułowany cel główny. Nie przedstawiono uzasadnienia dla wartości docelowej. Podobnie nieprawidłowo sformułowane cele 2 i 3 programu.
5. Miernik nr 3 został sformułowany w sposób nieprawidłowy. Mierniki nr 1 oraz 4 nie odnoszą się do celów programu, ale mogą zostać wykorzystane w ramach monitorowania zgłaszalności.
6. Dołączony do projektu test wiedzy budzi zastrzeżenia także merytoryczne.
7. Zastrzeżenia budzi dysproporcja pomiędzy kosztami badania USG, a kosztami administracyjnymi.

**Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 48a ust. 8 pkt 3, w w. 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.431.28.2024 „Profilaktyka i wczesne wykrywanie raka jądra wśród mężczyzn w wieku 20-39 lat, zamieszkałych w Poznaniu, w latach 2024-2026” realizowany przez: Miasto Poznań, Warszawa, czerwiec 2024.





Opinia Rady Przejrzystości  
nr 96/2024 z dnia 17 czerwca 2024 roku  
o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej w zakresie  
leczenia niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego –  
in vitro dla mieszkańców Miasta Inowrocław na lata  
2024-2026”

*Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej w zakresie leczenia niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego – in vitro dla mieszkańców Miasta Inowrocław na lata 2024-2026”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady oraz uwag zawartych w raporcie AOTMiT.*

**Uzasadnienie**

*Przedmiotem oceny jest projekt PPZ przesłany przez miasto Inowrocław w zakresie leczenia niepłodności, która jest ważnym problemem zdrowotnym i społecznym. W treści projektu podkreślono, że według danych WHO problem niepłodności dotyczy ok. 18% populacji, w tym przypadku u 2% par wymagane jest leczenie metodami wspomaganego rozrodu IVF, ICSI. Wnioskodawca powołując się na dane GUS dot. liczby związków małżeńskich oraz nieformalnych bez dzieci oraz przedstawione w projekcie dane epidemiologiczne, wskazał, że szacuje się, że w mieście Inowrocław mieszka ok. 5 100 bezdzietnych par. Wielkość niepłodnej populacji w mieście Inowrocław można szacować na około 900 par, zaś wielkość populacji wymagającej leczenia metodami IVF/ICSI na około 100 par. Biorąc pod uwagę możliwości finansowe miasta Inowrocław założono, że w ramach programu dofinansowanie zostanie udzielone rocznie 10 parom (każdej parze na jedną procedurę). Biorąc pod uwagę 3-letni okres realizacji, PPZ zostanie objęte 30 par.*

*Celem głównym programu jest „ograniczenie zjawiska niezamierzonej bezdzietności wśród mieszkańców Miasta Inowrocław poprzez zapewnienie leczenia niepłodności z zastosowaniem procedury medycznie wspomaganej prokreacji (IVF/ICSI), w wyniku której prognozuje się narodziny dziecka u 10% par objętych leczeniem w programie realizowanym w latach 2024-2026”.*

Populację docelową będą stanowić pary (wiek kobiety 20-43 lata), u których stwierdzono niepłodność kobiety i/lub mężczyzny i wyczerpały się lub nie istnieją inne metody jej leczenia.

Kryteria kwalifikacji uczestników do programu obejmą: wiek kobiety 20-43 r.ż.; zameldowanie i zamieszkiwanie na terenie miasta Inowrocław od co najmniej 36 miesięcy – obydwu osób zakwalifikowanych do terapii; stwierdzona niepłodność lub nieskuteczne leczenie niepłodności w okresie 12 miesięcy poprzedzających zgłoszenie do udziału w programie.

Jeśli chodzi o dawstwo inne niż partnerskie, w projekcie wskazano, że anonimowi dawcy komórek rozrodczych (dawstwo inne niż partnerskie) przejdą szczegółową kwalifikację medyczną zgodnie z Ustawą o leczeniu niepłodności oraz wynikającymi z niej rozporządzeniami Ministra Zdrowia.

W projekcie programu odniesiono się do interwencji związanych zaplanowaną procedurą zapłodnienia *in vitro* (dawstwo partnerskie, dawstwo inne niż partnerskie, adopcja zarodka). Obejmą one działania medyczne oraz działania informacyjno-edukacyjne.

Projekt zawiera zdawkowy opis etapów i działań podejmowanych w ramach programu. Realizator programu wybrany zostanie w drodze konkursu ofert, co jest zgodne z zapisami ustawowymi. Po wyborze realizatora zostanie przeprowadzona akcja informacyjna, kwalifikacja par do udziału w programie, a następnie wykonywana będzie procedura zapłodnienia pozaustrojowego. Na zakończenie zostanie przeprowadzone monitorowanie i ewaluacja. Ocena jakości świadczeń w programie będzie prowadzona na podstawie corocznej ankiety satysfakcji.

Rekomendacje PTMR/PTG 2018 wskazują, że procedura zapłodnienia pozaustrojowego (IVF lub ICSI) ma udowodnioną, najwyższą skuteczność spośród wszystkich metod wspomaganego rozrodu. Zaplanowane przez wnioskodawcę działania w zakresie poradnictwa są zgodne z aktualnymi wytycznymi.

Koszt całkowity programu oszacowano na 180 000 zł (60 000 zł rocznie). W projekcie programu opisano koszty jednostkowe: 6 000 zł/para – dofinansowanie maksymalnie 1 zabiegu zapłodnienia pozaustrojowego w ramach procedury dawstwa partnerskiego lub innego niż partnerskie; 3 000 zł/para – dofinansowanie maksymalnie 1 zabiegu zapłodnienia pozaustrojowego w ramach procedury dawstwa zarodka. Są to kwoty częściowo pokrywające koszt jednej procedury zapłodnienia pozaustrojowego. Każda z par zakwalifikowanych do programu będzie mogła z korzystać z dofinansowania maksymalnie jednej procedury, a tym samym koszt pozostałych procedur (drugiej i kolejnych) pozostanie w całości kosztem własnym uczestników. Dodatkowo zaplanowano koszty akcji informacyjnej w wysokości 2 000 zł oraz koszt monitorowania

i ewaluacji (1000 zł). Program będzie finansowany ze środków miasta Inowrocław.

Zgodnie z nowelizacją z dnia 29 listopada 2023 r. ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, z dniem 1 czerwca 2024 r. rozpoczęła się realizacja ogólnopolskiego programu polityki zdrowotnej leczenia niepłodności pn. „Program polityki zdrowotnej leczenia niepłodności obejmujący procedury medycznie wspomaganej prokreacji, w tym zapłodnienie pozaustrojowe”. Program obejmuje procedury medycznie wspomaganej prokreacji, w tym zapłodnienie pozaustrojowe. Program skierowany jest do par pozostających w związku małżeńskim lub pozostających we wspólnym pożyciu, ze wskazaniem do leczenia niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego w ośrodku medycznie wspomaganej prokreacji, a także do pacjentów przed lub w trakcie leczenia onkologicznego o potencjale upośledzającym płodność. Zgodnie z art. 48 ust. 4 ww. ustawy projekty polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego muszą być spójne merytorycznie i organizacyjnie ze świadczeniami gwarantowanymi objętymi programami realizowanymi przez ministrów lub Narodowy Fundusz Zdrowia. Po wejściu w życie programu ministerialnego wnioskodawca powinien zatem dokonać oceny celowości kontynuowania ocenianego programu i rozważyć zakończenie jego realizacji, stosownie do brzmienia art. 48 ust. 4 ustawy. Zgodnie z mapą placówek realizujących ogólnopolski program wsparcia in vitro, na terenie województwa kujawsko-pomorskiego jedynie 3 placówki realizują ww. program. Natomiast należy zaznaczyć, że na terenie miasta Inowrocław nie funkcjonuje żadna placówka realizująca ww. Program.

#### Uwagi Rady

- PPZ powinien być spójny merytorycznie i organizacyjnie z dostępnym obecnie programem finansowanym ze środków Ministerstwa Zdrowia;
- PPZ powinien być skierowany wyłącznie do osób pozostających w związku małżeńskim lub we wspólnym pożyciu;
- wyjaśnienia wymaga finansowanie diagnostyki dla anonimowych dawców i diagnostyki niepłodności w ramach programu, w którego budżecie nie uwzględniono badań diagnostycznych;
- wyjaśnienia wymaga finansowanie „zaopatrzenia w leki” w ramach procedury „stymulacji mnogiego jajczkowania i nadzoru nad jej przebiegiem”;
- doprecyzowania wymaga opis etapów i działań podejmowanych w ramach programu;
- Wyjaśnienia wymaga wskazanie temperatury w opisie wymaganej aparatury (370C prawdopodobnie omyłkowo zamiast 37°C);

- *doprecyzowania wymaga weryfikacja „oświadczeń o stwierdzonej przyczynie niepłodności lub nieskutecznym leczeniu niepłodności w okresie 12 miesięcy poprzedzających zgłoszenie do udziału w programie”.*

#### **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.431.29.2024 „Program polityki zdrowotnej w zakresie leczenia niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego – in vitro dla mieszkańców Gminy Miasta Inowrocław na lata 2024-2026” realizowany przez: Miasto Inowrocław, Warszawa, czerwiec 2024 oraz Aneksu „Programy z zakresu diagnostyki i leczenia niepłodności – wspólne podstawy oceny” z czerwca 2022 r.