



BP.401.5.2024.LAn

**Protokół nr 9/2024
z posiedzenia Rady Przejrzystości
w dniu 26 lutego 2024 roku**

Adam Maciejczyk otworzył posiedzenie o godzinie 10:15.

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

1. Damian Czyżewski
2. Małgorzata Dziędziak
3. Anna Gręziak
4. Dorota Kilańska
5. Marcin Lipowski
6. Adam Maciejczyk
7. Tomasz Pasierski
8. Janusz Szyndler
9. Anetta Undas
10. Monika Urbaniak

Proponowany porządek obrad:

1. Ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności zmiany wskazań refundacyjnych dla substancji czynnej karizprazyna na: leczenie dorosłych pacjentów ze schizofrenią z pierwotnymi, przeważającymi i przetrwałymi objawami negatywnym.
3. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności wprowadzenia zmiany w dotychczasowej treści programu lekowego B.101. „Leczenie pacjentów z zaburzeniami lipidowymi (ICD-10: E78.01, I21, I22, I25)”.
4. Przygotowanie opinii w sprawie objęcia refundacją substancji czynnej paliwizumab we wskazaniach pozarejestacyjnych: „Profilaktyka zakażeń wirusem RS u dzieci: poniżej 2 roku życia z rozpoznaniem rdzeniowego zaniku mięśni SMA, poniżej 1 roku życia z rozpoznaniem mukowiscydozy CF, poniżej 2 roku życia z rozpoznaniem encefalopatii padaczkowych i rozwojowych uwarunkowanych genetycznie (w tym zespół Dravet)”, w ramach programu lekowego. B.40. „Profilaktyka zakażeń wirusem RS (ICD-10: P07.2, P07.3, P27.1, P07.0, P07.1, Q20-Q24, G12.0, G12.1, G40.4, E84.0)”.
5. Przygotowanie opinii w sprawie objęcia refundacją substancji czynnej mykofenolanu mofetylu we wskazaniu pozarejestacyjnym: miastenia.
6. Przygotowanie opinii w sprawie objęcia refundacją substancji czynnej capecytabinum w ramach katalogu chemioterapii we wskazaniach pozarejestacyjnych: C00, C01, C02, C03, C04, C05, C06, C07, C08, C09, C10, C11, C12, C13, C14, C15, C17, C21, C22.1, C23, C24, C25, C73, C74, C75 (ICD-10).

7. Przygotowanie opinii w sprawie objęcia refundacją substancji czynnej rytuksymab we wskazaniu pozarejestrycyjnym: miastenia, w ramach programu lekowego „Leczenie chorych z uogólnioną postacią miastenii (G.70.0)”.
8. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program profilaktyki zaburzeń depresyjnych wśród nastolatków uczęszczających do szkół na terenie Gminy Miasta Marki na lata 2024-2026”.
9. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program Profilaktyki Zdrowotnej w zakresie Profilaktyki Stomatologicznej w Gminie Gostycyn na lata 2024-2027”.
10. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Zadbaj o prawidłowy poziom cholesterolu w Twojej Rodzinie Małopolski program profilaktyki hipercholesterolemii rodzinnej”.
11. Zakończenie posiedzenia.

Ad 1. Żaden członek Rady nie zadeklarował konfliktu interesów.

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

Ad 2. Analityk Agencji podsumował najważniejsze informacje dot. zmiany wskazań refundacyjnych dla substancji czynnej karizprazyna.

Głos we wstępnej dyskusji zabrali: Janusz Szyndler, Damian Czyżewski i Małgorzata Dziedziak, a projekt opinii Rady przedstawiła Małgorzata Dziedziak.

Po doprecyzowaniu treści uchwały, w czym uczestniczyli: Małgorzata Dziedziak, Adam Maciejczyk, Anetta Undas, Tomasz Pasierski i Janusz Szyndler.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 9 głosami „za”, przy 1 głosie „przeciw” (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 1 do protokołu).

Ad 3. Analityk Agencji streścił raport w sprawie zmian w programie lekowym dot. leczenia pacjentów z zaburzeniami lipidowymi, a projekt opinii Rady przedstawiła Anetta Undas.

Głos zabrali Tomasz Pasierski i Anetta Undas, po czym Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 2 do protokołu).

Ad 4. Analityk Agencji omówił dane dot. objęcia refundacją substancji czynnej paliwizumab we wskazaniach pozarejestrycyjnych dot. RSV.

Głos zabrali Tomasz Pasierski i Janusz Szyndler, a projekt opinii Rady przedstawił Janusz Szyndler.

W dyskusji Rady, w wyniku której doprecyzowano treść uchwały, udział wzięli: Tomasz Pasierski, Janusz Szyndler, Małgorzata Dziedziak i Adam Maciejczyk.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła opinię (załącznik nr 3 do protokołu).

Ad 5. Analityk Agencji podsumował najważniejsze informacje z raportu w sprawie refundacji substancji czynnej mykofenolan mofetylu we wskazaniu pozarejestrycyjnym: miastenia.

Głos zabrali Tomasz Pasierski i Janusz Szyndler, a projekt opinii Rady przedstawił Tomasz Pasierski.

W związku z brakiem innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 4 do protokołu).

Prowadzenie posiedzenia przejął Janusz Szyndler.

Ad 6. Analityk Agencji zaprezentował dane dot. refundacji substancji czynnej capecitabinum we wskazaniach pozarejestacyjnych.

Projekt opinii Rady przedstawił Marcin Lipowski.

W dyskusji, w wyniku której doprecyzowano treść uchwały, udział wzięli: Adam Maciejczyk, Marcin Lipowski, Janusz Szyndler i Małgorzata Dziedziak.

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

Ad 7. Analityk Agencji omówił dane odnoszące się do refundacji substancji czynnej rytuksymab we wskazaniu pozarejestacyjnym: miastenia.

Projekt opinii Rady przedstawił Damian Czyżewski.

W dyskusji Rady głos zabrali: Janusz Szyndler, Damian Czyżewski i Anna Gręziak.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 6 do protokołu).

Ad 8. Analityk Agencji przedstawił projekt programu polityki zdrowotnej Gminy Miasta Marki dot. profilaktyki zaburzeń depresyjnych, a projekt opinii Rady przedstawiła Monika Urbaniak.

Głos zabrał Janusz Szyndler, Monika Urbaniak, po czym prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 7 do protokołu).

Ad 9. Analityk Agencji zaprezentował założenia programu polityki zdrowotnej gm. Gostycyn z zakresu profilaktyki stomatologicznej.

Głos zabrali Janusz Szyndler i Tomasz Pasierski, a projekt opinii Rady przedstawiła Dorota Kilańska.

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym uczestniczyli Janusz Szyndler i Dorota Kilańska.

Posiedzenie opuścił Adam Maciejczyk.

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

Posiedzenie opuściła Anetta Undas.

Ad 10. Analityk Agencji omówił projekt programu polityki zdrowotnej woj. małopolskiego dot. profilaktyki hipercholesterolemii rodzinnej.

Głos zabrali Tomasz Pasierski i Janusz Szyndler, a projekt opinii Rady przedstawiła Anna Gręziak.

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym uczestniczyli Janusz Szyndler, Tomasz Pasierski i Anna Gręziak.

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

Ad 11. Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 13:26.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 24/2024 z dnia 26 lutego 2024 roku
w sprawie zasadności zmiany wskazania refundacyjnego dla
substancji czynnej kariprazyna na: leczenie dorosłych pacjentów
ze schizofrenią z pierwotnymi, przeważającymi i przetrwałymi
objawami negatywnymi

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wprowadzenie zmiany wskazania refundacyjnego dla substancji czynnej kariprazyna zawartej w:

- *Reagila, cariprazine, kaps. twarde, 1.5 mg, 28 szt., GTIN: 05909991337056,*
- *Reagila, cariprazine, kaps. twarde, 3 mg, 28 szt., GTIN: 05909991337155,*
- *Reagila, cariprazine, kaps. twarde, 4.5 mg, 28 szt., GTIN: 05909991337230,*

z obowiązującego aktualnie:

„Leczenie dorosłych pacjentów ze schizofrenią z pierwotnymi, przeważającymi i przetrwałymi objawami negatywnymi, u których nie występują objawy depresyjne”

na proponowane:

„Leczenie dorosłych pacjentów ze schizofrenią z pierwotnymi, przeważającymi i przetrwałymi objawami negatywnymi”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Zarejestrowane wskazanie dla produktu Reagila to leczenie schizofrenii u pacjentów dorosłych, a więc proponowana treść wskazania refundacyjnego jest szersza od dotychczasowej w zakresie populacji docelowej – brak ograniczenia populacji pacjentów ze schizofrenią z pierwotnymi, przeważającymi i przetrwałymi objawami negatywnymi do pacjentów, u których nie występują objawy depresyjne – jednak nadal węższa od wskazania rejestracyjnego.

W polskich rekomendacjach klinicznych PTP 2019 dotyczących leczenia schizofrenii z objawami negatywnymi wymienia się następujące substancje czynne stosowane w leczeniu objawów negatywnych: amisulpryd, aripiprazol, kłozapina, kwetiapina, lurasydol, olanzapina, paliperidon, rysperydon, sertindol, zyprazydon.

W rekomendacjach podkreślono, iż żadna z powyższych substancji nie została przebadana w populacji z przeważającymi objawami negatywnymi. W przypadku pacjentów z przeważającymi i przetrwałymi objawami negatywnymi wytyczne zalecają stosowanie kariprazyny.

Wytyczne z innych krajów zalecają stosowanie leków przeciwpsychotycznych, przede wszystkim II generacji (nawet zmianę leczenia z leku I generacji na lek II generacji).

Biorąc powyższe pod uwagę, amisulpryd, aripiprazol, kłozapina, kwetiapina, lurasydol, olanzapina, paliperidon, rysperydon, sertindol, zyprazydon wymienione przez wytyczne PTP 2019 i objęte refundacją w Polsce mogą stanowić potencjalne komparatory dla kariprazyny.

Wytyczne klinicznie wskazują również, w populacji pacjentów z przeważającymi objawami negatywnymi, u których występują objawy depresyjne, na możliwość stosowania leków przeciwpsychotycznych w połączeniu lekami z przeciwdepresyjnymi. Nie wykluczają przy tym zastosowania leczenia złożonego w przypadku kariprazyny.

Dowody naukowe

- nie odnaleziono badań ukierunkowanych bezpośrednio na ocenę analizowanej populacji tj. pacjentów z przeważającymi, przetrwałymi pierwotnymi objawami negatywnymi, niezależnie od stopnia ich nasilenia oraz z objawami depresji o umiarkowanym lub ciężkim nasileniu;
- brak badań bezpośrednio porównujących kariprazynę z innymi niż rysperydon, lekiem przeciwpsychotycznym u pacjentów objawami negatywnymi;
- w badaniach Ivanov 2022, Nemeth 2017: niewielkie nasilenie objawów depresyjnych (wykluczono pacjentów o umiarkowanym/ciężkim nasileniu) - potencjalny wpływ na wielkość obserwowanego efektu terapii;
- ocena nasilenia objawów depresyjnych stanowiła drugorzędowy punkt końcowy w badaniach Nemeth 2017 i Ivanov 2022;

- *Rancans 2021- dozwolone jednoczesne stosowanie innych leków, w tym leków przeciwdepresyjnych (leki przeciwdepresyjne stosowało 40% pacjentów na początku badania).*

Problem ekonomiczny

Wykorzystując dane epidemiologiczne oraz dane NFZ dotyczące liczby pacjentów realizujących recepty na kariprazynę, oszacowano, iż liczba pacjentów dorostych ze schizofrenią z pierwotnymi, przeważającymi i przetrwałymi objawami negatywnymi wyniesie łącznie 12 041 i 12 534 pacjentów odpowiednio w I oraz II roku analizy, w tym liczba pacjentów z objawami depresyjnymi stanowi ok. 3 854 pacjentów w I roku analizy oraz 4 012 w II roku analizy.

Na podstawie raportu Szulc 2019 w obliczeniach uwzględniono bezpośrednio odsetki pacjentów stosujących olanzapinę, aripiprazol oraz rysperydon, które zostały wskazane jako najczęściej stosowane leki przez pacjentów z przeważającymi objawami negatywnymi o charakterze pierwotnym (olanzapina - 48%, aripiprazol - 32% oraz risperidon - 15%). Dla pozostałych substancji przyjęto równomierny podział udziałów w rynku.

W scenariuszu nowym przyjęto, że rozszerzenie wskazania refundacyjnego dla KAR nie zmieni liczebności populacji docelowej uwzględnionej w niniejszej analizie. Założono przejście pacjentów stanowiących populację stosujących dane leki w scenariuszu obecnym do stosowania kariprazyny.

Ze względu na brak danych, w analizie podstawowej arbitralnie przyjęto, iż w pierwszym roku refundacji odpowiednio 30% pacjentów stosujących olanzapinę, aripiprazol, rysperydonu (leki najczęściej stosowane w populacji pacjentów z przetrwałymi, przeważającymi objawami negatywnymi wg Szulc 2019) oraz 20% stosujących pozostałe substancje wskazane w wytycznych rozpocznie terapię kariprazyną. W drugim roku scenariusza nowego przyjęto, że 50% pacjentów stosujących olanzapinę, aripiprazol, rysperydon oraz 40% stosujących pozostałe substancji rozpocznie stosowanie kariprazyny.

Przeprowadzona przez analityków Agencji analiza wpływu na budżet wykazała, że rozszerzenie wskazania refundacyjnego zgodnie z propozycją może zwiększyć populację korzystającą z realizacji recept na produkty Reagila o ok. 14% i 23% odpowiednio w I. i II roku analizy.

Objęcie refundacją produktu leczniczego Reagila w proponowanym wskazaniu będzie się wiązało z niewielkim wzrostem wydatków po stronie płatnika publicznego.

Główne argumenty decyzji

- *Kariprazyna jest rekomendowana przez większość towarzystw naukowych we wskazaniu podlegającym opiniowaniu;*

- *Z uwagi na zgłoszone trudności w odniesieniu do odróżnienia objawów negatywnych oraz objawów depresyjnych bez nakładania się ich obrazów klinicznych zasadna jest zmiana wskazań refundacyjnych;*
- *Niewielkie obciążenie budżetu płatnika publicznego;*
- *W związku z potencjalnym wzrostem leczonej populacji wskazane jest pogłębienie RSS.*

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt 4 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem opracowania nr: OT.422.0.23.2023 „Reagila (kariprazyna) zmiana wskazania refundacyjnego: leczenie dorosłych pacjentów ze schizofrenią z pierwotnymi, przeważającymi i przetrwałymi objawami negatywnymi”; data ukończenia: 21.02.2024 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 25/2024 z dnia 26 lutego 2024 roku
w sprawie zasadności wprowadzenia zmiany w dotychczasowej treści
programu lekowego B.101. „Leczenie pacjentów z zaburzeniami
lipidowymi (ICD-10: E78.01, I21, I22, I25)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wprowadzenie zmiany w dotychczasowej treści programu lekowego B.101. „Leczenie pacjentów z zaburzeniami lipidowymi (ICD-10: E78.01, I21, I22, I25)”.

Uzasadnienie

W programie B.101 ogłoszonym w dniu 1 listopada 2018 r., przeznaczonym dla chorych z pierwotną hipercholesterolemią umożliwiono stosowanie 2 inhibitorów PCSK9 – alirokumab podawany podskórnie (150 mg co 2 tygodnie lub 300 mg co 4 tygodnie) i ewolokumab podawany dożylnie (140 mg co 2 tygodnie). Populacja pacjentów z bardzo wysokim ryzykiem sercowo-naczyniowym została dodana do programu B.101 w dniu 1 listopada 2020 r. Dwa lata później do programu włączono inklisiran, pierwszy lek z grupy małych interferujących RNA, hamujący syntezę PCSK9 w wątrobie, zarejestrowany w Unii Europejskiej w 2020 roku i poszerzono definicję pacjenta obciążonego bardzo wysokim ryzykiem. We wrześniu 2023 roku wyodrębniono w programie chorych z homozygotyczną hipercholesterolemią rodzinną, u których wprowadzono do leczenia lomitapid.

W dn. 30 stycznia 2024 r. Minister Zdrowia przekazał do AOTMiT zlecenie oceny kolejnej modyfikacji programu B.101 tj. zmiany podpunktu 1 w kryteriach kwalifikacji do programu w części dotyczącej pacjentów obciążonych bardzo wysokim ryzykiem chorób układu sercowo-naczyniowego (punkt 1.2.3) z „1) LDL-C >100 mg/dl (2,5 mmol/l) pomimo stosowania diety i: (...)” na „1) LDL-C >70 mg/dl (1,8 mmol/l) pomimo stosowania diety i: (...)”, oraz oceny zmiany wielkości populacji pacjentów kwalifikujących się do leczenia w ramach programu i wynikających z niej zmiany obciążenia budżetu płatnika publicznego. Proponowane zmiany zgodne są z wytycznymi praktyki klinicznej w tym ESC i AHA/ACC oraz NICE. W dokumentach rejestracyjnych żadnego z 3 leków dostępnych w programie nie podano określonych stężeń LDL-C podając, że leki

są zarejestrowane u pacjentów, u których nie jest możliwe osiągnięcie docelowych stężeń LDL-C, co odpowiada zaproponowanym obecnie zmianom w programie B.101. Aktualne wytyczne ESC obowiązujące także w Polsce wskazują, że celem terapeutycznym dla terapii hipolipemizującej u chorych o bardzo dużym ryzyku sercowo-naczyniowego jest LDL-C <55 mg/dl (1,4 mmol/l), a u tych z ekstremalnie dużym ryzykiem LDL-C <40 mg/dl (1 mmol/l).

Wyniki badań kluczowych RCT nad skutecznością i bezpieczeństwem leków stosowanych w programie B.101 tj. ODYSSEY OUTCOMES z alirokumabem, FOURIER z ewolokumabem, ORION-10 i -11 z inklisiranem wskazują, że u chorych z LDL-C > 1,8 mmol/l leki prowadzą do średnio 50% redukcji LDL-C w porównaniu z placebo dodanego do leczenia hipolipemizującego. Efekty tych leków nie zależały od wyjściowego stężenia LDL-C, a większość chorych miała wyjściowo LDL-C 70-80 mg/dl. Alirokumab i ewolokumab zmniejszyły znamienne – w porównaniu z placebo - ryzyko poważnych zdarzeń sercowo-naczyniowych (MACE), obejmujących zgon z przyczyn sercowo-naczyniowych, zawał serca niezakończony zgonem, niedokrwienny udar mózgu niezakończony zgonem, niestabilna dławica piersiowa wymagająca hospitalizacji; w badaniach ORION-10 i -11 nie badano efektów klinicznych leczenia.

W tych badaniach kwalifikowano chorych z LDL-C powyżej 70 mg/dl (1,8 mmol/l) co jest zgodne z proponowaną modyfikacją. Testowane leki były włączane po minimum 2 tygodniach stosowania atorwastatyny 80 mg/d lub rozuwastatyny 20-40 mg/d lub największej tolerowanej dawki statyn (ODYSSEY OUTCOMES) lub stabilnej terapii hipolipemizującej (FOURIER) lub terapii statynami w najwyższej tolerowanej dawce (ORION).

Analiza danych NFZ pokazała, że w programie B.101 (pierwsze podanie w dn. 13 marca 2019 r.) dotąd uczestniczyło tylko 893 chorych, w tym 481 otrzymywało alirokumab, 288 ewolokumab i 175 inklisiran, co świadczy o bardzo małym wykorzystaniu tych technologii w leczeniu polskich chorych zwłaszcza w porównaniu z państwami Europy Zachodniej. Oszacowano, że obniżenie stężenia LDL-C, od którego możliwe będzie włączenie pacjenta do programu B.101, do wartości 70 mg/dl zwiększy populację leczoną o 33-54%, co może zwiększyć wydatki płatnika publicznego o dodatkowe 1,82 mln zł w pierwszym roku oraz 6,51 mln zł w drugim roku.

Główne argumenty decyzji

Optymalizacja leczenia hipercholesterolemii u chorych dużego ryzyka sercowo-naczyniowego zwłaszcza tych po zawale serca może zmniejszyć chorobowość i umieralność w Polsce, a proponowana zmiana jest zgodna z zaleceniami w tym polskich ekspertów i oparte na wiarygodnych danych z badań RCT.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt 4 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem opracowania nr: OT.422.0.3.2024 „Zmiany w opisie programu lekowego B.101 pacjent z bardzo wysokim ryzykiem chorób układu sercowo-naczyniowego alirokumab, ewolokumab, inkisiran”; data ukończenia 22.02.2024 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 26/2024 z dnia 26 lutego 2024 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną
paliwizumab we wskazaniach pozarejestacyjnych

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną paliwizumabu we wskazaniach pozarejestacyjnych:

„Profilaktyka zakażeń wirusem RS u dzieci:

- *poniżej 2 roku życia z rozpoznaniem rdzeniowego zaniku mięśni SMA,*
- *poniżej 1 roku życia z rozpoznaniem mukowiscydozy CF,*

w ramach programu lekowego. B.40. „Profilaktyka zakażeń wirusem RS”.

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną paliwizumabu we wskazaniach pozarejestacyjnych:

„Profilaktyka zakażeń wirusem RS u dzieci:

- *poniżej 2 roku życia z rozpoznaniem encefalopatii padaczkowych i rozwojowych uwarunkowanych genetycznie (w tym zespół Dravet),*
- w ramach programu lekowego. B.40. „Profilaktyka zakażeń wirusem RS”.*

Uzasadnienie

Ostre infekcje układu oddechowego, często spowodowane przez wirus RSV, stanowią ważną przyczynę hospitalizacji u dzieci. Choroba może przebiegać łagodnie jako nieżyt górnych dróg oddechowych lub prowadzić do poważniejszych powikłań, takich jak zapalenie oskrzelików czy zapalenie płuc z niewydolnością oddechową. Dzieci z zaburzeniami związanymi z układem oddechowym lub układem krążenia charakteryzują się podwyższonym ryzykiem zakażenia RSV. Jedną z metod zapobiegania infekcji wirusem RSV jest immunoprewencja polegająca na podawaniu przeciwciał monoklonalnych skierowanych przeciwko wirusom RSV. Aktualnie w Polsce w wybranych populacjach dostępna jest profilaktyka paliwizumabem.

W piśmiennictwie zidentyfikowane 3 przeglądy systematyczne dot. populacji pediatrycznej z rozpoznaną mukowiscydozą (Kua 2017, Robinson 2016, Sánchez-Solis 2013), które były niskiej lub krytycznie niskiej jakości wg AMSTAR-2. Nie odnaleziono badań odnoszących się bezpośrednio do skuteczności i bezpieczeństwa paliwizumabu u dzieci z SMA czy encefalopatiami.

Do przeglądu systematycznego Kua 2017 włączono 10 badań. W pięciu z nich stwierdzono, że profilaktyka paliwizumabem zmniejsza częstość hospitalizacji z powodu zakażenia RSV (wyniki istotne statystycznie na korzyść paliwizumabu w zakresie hospitalizacji wykazano tylko w badaniu Speer 2008). W jednym z tych badań paliwizumab zapobiegł hospitalizacji związanej z RSV u wszystkich zaszczepionych dzieci. Natomiast w 4 badaniach zaobserwowano, że dzieci z mukowiscydozą, które otrzymały paliwizumab, miały niższą częstość hospitalizacji z powodu ostrej choroby układu oddechowego oraz krótszy czas hospitalizacji w porównaniu z pacjentami nieotrzymującymi paliwizumabu. Jednakże w jednym z badań zaobserwowano odmienne wyniki, gdzie większy odsetek niemowląt z mukowiscydozą w grupie otrzymującej paliwizumab był hospitalizowany z powodu zakażenia RSV (Linnane 2015).

Wyniki przeglądu Cochrane'a (Robinson 2016), wykazały, że siła i jakość uwzględnionych dowodów były niewystarczające do wyciągnięcia jednoznacznych wniosków na temat skuteczności i bezpieczeństwa profilaktyki paliwizumabem u dzieci z mukowiscydozą poniżej 2 roku życia. Po 6 miesiącach leczenia, analiza nie wykazała istotnych klinicznie różnic pomiędzy badanymi grupami paliwizumabu a placebo.

W przeglądzie Sánchez-Solis 2013 uwzględniono 6 badań, w których raportowano hospitalizacje z powodu zakażenia RSV. Całkowita liczba pacjentów z mukowiscydozą, którzy otrzymali paliwizumab, wynosiła 354, a wskaźnik przyjęć do szpitala wśród nich wyniósł 0,018 (95% CI: 0,0077-0,048). Natomiast liczba pacjentów z mukowiscydozą nie stosujących profilaktyki paliwizumabem wyniosła 463, a wskaźnik hospitalizacji wyniósł 0,126 (95% CI: 0,086-0,182). Różnica między grupami była istotna statystycznie na korzyść paliwizumabu.

W przeglądzie Kua 2017 nie wykazano poważnych zdarzeń niepożądanych związanych z leczeniem paliwizumabem. Jedynie w jednym badaniu (Cohen 2017) odnotowano przerwanie leczenia z powodu poważnego zdarzenia niepożądanego u jednego z uczestników. Wyniki przeglądu Robinson 2016 dla dzieci poniżej 2 roku życia z mukowiscydozą sugerują, że ogólna częstość występowania zdarzeń niepożądanych była podobna w grupach paliwizumabu i placebo. Według ChPL leku Synagis, do najpoważniejszych działań niepożądanych paliwizumabu należą anafilaksja oraz ostre reakcje nadwrażliwości, a do częstych - gorączka, wysypka oraz reakcje w miejscu podania.

Odnalezione amerykańskie wytyczne kliniczne (AAP 2014-2022, NACI 2022) nie zalecają rutynowego podawania paliwizumabu dzieciom poniżej 2 r.ż. z mukowiscydozą a podawanie leku powinno być rozpatrywane indywidualnie. Podobnie zaleca się indywidualne rozważenie immunoprofilaktyki w przypadku pacjentów ze schorzeniami nerwowo-mięśniowymi (NACI 2022, the SMA Care group 2018, NPA 2018). W polskich wytycznych (Helwich 2022) wskazuje,

że należy rozważyć podawanie paliwizumabu dzieci z mukowiscydozą czy chorobami nerwowo-mięśniowymi (w tym SMA). Żadne z odnalezionych wytycznych nie odnosiły się do populacji dzieci z encefalopatiami, w tym z zespołem Dravet. Eksperti kliniczni poproszeni o opinię w przedmiotowej sprawie wskazali, że rozszerzenie programu lekowego o wnioskowane populacje jest zasadne.

Objęcie refundacją całej wnioskowanej populacji będzie skutkowało wzrostem wydatków płatnika publicznego.

Główne argumenty decyzji

1. Ograniczone dowody naukowe i rekomendacje kliniczne wskazują na efektywność profilaktyki zakażeń RSV w populacji dzieci z zaburzeniami funkcji dróg oddechowych i/lub zaburzeniami sekrecji tj. chorobach nerwowo-mięśniowych i mukowiscydozie przy akceptowalnym profilu bezpieczeństwa.
2. Brak jest danych wskazujących na zasadność stosowanie profilaktyki RSV u dzieci z encefalopatiami.

Uwagi do programu lekowego

- 1) Wymienianie populacji na początku opisu programu jest zbędne, w kryteriach kwalifikacji populacje są opisane po raz drugi. Rada proponuje następujący zapis (w ślad za ChPL leku Synagis): „Program lekowy jest przeznaczony dla dzieci z dużym zagrożeniem chorobą wywołaną przez RSV w celu zapobiegania, wymagającej hospitalizacji, ciężkiej chorobie dolnych dróg oddechowych”.
- 2) W ślad za analizą przeprowadzoną przez AOTMiT w programie należy uściślić, że kryteria kwalifikacji dot. wieku pacjenta należy spełnić w momencie podania pierwszej dawki leku w każdym sezonie immunizacji.
- 3) Zapisy opisujące świadczeniobiorców zawierają informacje o sposobie dawkowania i powinny być przeniesione do kolumny nr 2 „dawkowanie paliwizumabu”.
- 4) Punkt pierwszy kryteriów kwalifikacji nie jest jasny. Powinien mieć jasno sformułowany zapis, że dotyczy wcześniaków urodzonych w wieku ciążowym 29 - 32 tygodni oraz wcześniaków urodzonych w wieku ciążowym ≤ 35 tygodni z niską masą urodzeniową poniżej 1500 g.
- 5) W zapisach kwalifikacji zamiast sformułowania „brak ukończenia [...]” należy użyć: „wiek poniżej [...]”.
- 6) W programie określono, że minimalna liczba dawek wynosi 3. Biorąc pod zapisy ChPL i dostępne dane kliniczne nie jest jasne pochodzenie tego zapisu.
- 7) W opisie programu warto uwzględnić specyficzny sposób podania leku (wstrzyknięcie domięśniowe w przednio-boczną część uda z unikaniem

podawania w mięsień pośladowy ze względu na ryzyko uszkodzenia n. kulszowego).

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. 2555 z poz. 826), 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.422.1.7.2024 „Paliwizumab we wskazaniach pozarejestacyjnych w ramach programu lekowego B.40”; data ukończenia: 21 lutego 2024 r.



Opinia Rady Przejrzystości

nr 27/2024 z dnia 26 lutego 2024 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną mykofenolan mofetylu we wskazaniu pozarejestacyjnym: miastenia

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną mykofenolan mofetylu we wskazaniu pozarejestacyjnym: miastenia.

Uzasadnienie

Miastenia, jest nabytą chorobą autoimmunologiczną, cechującą się występowaniem autoprzeciwciał przeciw białkom złącza nerwowomięśniowego – receptorowi acetylocholino (AChR) i receptorowej kinazie tyrozynowej swoistej dla mięśni.

W pierwszej linii leczenia stosuje się inhibitory ChE (pirydostygmina, neostygmina, ambenonium, distygmina), które zwalniają rozkład acetylocholino. Jeżeli leczenie inhibitorem ChE nie przynosi poprawy stosuje się leczenie immunosupresyjne najczęściej prednizon i azatioprynę, a w razie ich nieskuteczności cyklofosfamid, cyklosporynę, metotreksat lub mykofenolan mofetylu.

Dowody naukowe opierają się na 3 badaniach z randomizacją oraz jednym badaniu retrospektywnym. Badania te wykazały umiarkowaną, często nieznamienną statycznie skuteczność terapii.

Według opinii eksperta przypuszczalna liczba chorych u których lek byłby stosowany po objęciu go refundacją wynosi od 900 do 1200.

Oszacowany w horyzoncie analizy wzrost wydatków NFZ wynosi ok. 390 000 PLN.

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. 2555 z poz. 826), 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.422.1.5.2024 „Mykofenolan mofetylu we wskazaniu innym niż określone w ChPL: miastenia”; data ukończenia: 21 lutego 2024 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 28/2024 z dnia 26 lutego 2024 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną
capecytabinum we wskazaniach pozarejestacyjnych

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną capecytabinum w ramach katalogu chemioterapii we wskazaniach pozarejestacyjnych:

- *Nowotwór złośliwy wargi (C00),*
- *Nowotwór złośliwy nasady języka (C01),*
- *Nowotwór złośliwy innych i nieokreślonych części języka (C02),*
- *Nowotwór złośliwy dziąsła (C03),*
- *Nowotwór złośliwy dna jamy ustnej (C04),*
- *Nowotwór złośliwy podniebienia (C05),*
- *Nowotwór złośliwy innych i nieokreślonych części jamy ustnej (C06),*
- *Nowotwór złośliwy ślinianki przyusznej (C07),*
- *Nowotwór złośliwy innych i nieokreślonych dużych gruczołów ślinowych (C08),*
- *Nowotwór złośliwy migdałka (C09),*
- *Nowotwór złośliwy części ustnej gardła (C10),*
- *Nowotwór złośliwy części nosowej gardła (C11),*
- *Nowotwór złośliwy zachyłka gruszkowatego (C12),*
- *Nowotwór złośliwy części krtaniowej gardła (C13),*
- *Nowotwór złośliwy o innym i nieokreślonym umiejscowieniu w obrębie wargi, jamy ustnej i gardła (C14),*
- *Nowotwór złośliwy przełyku (C15),*
- *Nowotwór złośliwy jelita cienkiego (C17),*
- *Nowotwór złośliwy odbytu i kanału odbytu (C21),*
- *Nowotwór złośliwy tarczycy (C73),*
- *Nowotwór złośliwy nadnerczy (C74),*
- *Nowotwór złośliwy innych gruczołów wydzielania wewnętrznego i struktur pokrewnych (C75).*

Rada Przejrzystości uznaje za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną capecytabinum w ramach katalogu chemioterapii we wskazaniach pozarejestacyjnych:

- Nowotwór złośliwy przewodów żółciowych wewnątrzwątrobowych (C22.1),
- Nowotwór złośliwy pęcherzyka żółciowego (C23),
- Nowotwór złośliwy innych i nieokreślonych części dróg żółciowych (C24),
- Nowotwór złośliwy trzustki (C25).

Uzasadnienie

Kapecytabina jest organicznym związkiem chemicznym, lekiem cytostatycznym, który jest prekursorem 5-fluorouracylu (5-FU). Jest stosowana w chemioterapii nowotworów złośliwych. Zgodnie z danymi klinicznymi, komparatorem dla kapecytabiny jest 5-FU. Wytyczne kliniczne wskazują na możliwość stosowania obu leków zamiennie.

W ocenie zasadności stosowania kapecytabiny we wskazaniach pozarejestacyjnych przeprowadzono przegląd aktualnych rekomendacji klinicznych (NCCN 2023a, NCCN 2023b, NCCN 2023c, NCCN 2024, ESE 2018, ESMO 2019, ESMO 2022a, ESMO 2022b, UK NMG 2016a, UK NMG 2016b, PTOK 2020).

W przypadku nowotworów głowy i szyi kapecytabina zalecana jest jako leczenie samodzielne – gdy nie jest możliwe leczenie operacyjne lub radioterapia, lub leczenie systemowe lub uzupełniające. W leczeniu nowotworów jamy ustnej oraz warg, można rozważyć chemioterapię paliatywną lekami na bazie platyny, 5-FU lub kapecytabiną w celu złagodzenia objawów choroby oraz poprawy przeżywalności. W leczeniu nowotworu złośliwego przełyku kapecytabina zalecana jest jako lek pierwszego rzutu w skojarzeniu z lekiem przeciwnowotworowym, zawierającym platynę. Kapecytabina zalecana jest w przypadku nowotworu złośliwego jelita cienkiego, gdy nie jest możliwe leczenie operacyjne. W leczeniu nowotworu odbytu i kanału odbytu z przerzutami, kapecytabina zalecana jest w skojarzeniu z radioterapią, natomiast w przypadku nowotworu lokoregionalnego, rekomendowane jest skojarzenie kapecytabiny, mitomycyny oraz radioterapii. Polskie wytyczne powołują się na wyniki badań retrospektywnych, sugerujących podobną skuteczność terapii, gdy 5-FU zostaje zastąpiony przez kapecytabinę. W zaawansowanej postaci nowotworu złośliwego nadnerczy, schemat kapecytabina + gemcytabina zalecany jest jako jedna z dodatkowych opcji leczenia (gemcytabina nie jest aktualnie refundowana w Polsce w tym wskazaniu).

W ramach analizy skuteczności i bezpieczeństwa odnaleziono publikacje kilku badań klinicznych (Martinez-Trufero 2010, Chen 2021, Lee 2020, Lee 2007, Cunningham 2008, Javle 2009, Overman 2009, McWilliams 2017, Souza 2016, Satapathy 2020), w których kapecytabina stosowana była w leczeniu

nowotworów złośliwych narządów głowy i szyi, przełyku, jelita cienkiego, odbytu i kanału odbytu oraz tarczycy. W większości przypadków badania te stanowiły dowody niskiej jakości, z wyjątkiem badań RCT w przypadku nowotworów części nosowej gardła, a także przełyku.

W opinii Konsultanta Krajowego w dziedzinie onkologii klinicznej refundacja kapecytabiny we wskazaniach określonych przez projekt załącznika C5.b jest uzasadniona.

Proponowana zmiana finansowania kapecytabiny, rozszerzająca jej stosowanie we wskazaniach pozarejestacyjnych (C00-C15, C17, C21, C73-C75), może się wiązać ze zwiększeniem kosztów z perspektywy płatnika publicznego od 300 tys. do 1 mln zł rocznie. Jednak kapecytabina może stanowić alternatywę dla innych substancji czynnych stosowanych w powyższych wskazaniach i dlatego jej finansowanie nie wpłynie negatywnie na budżet płatnika publicznego w zakresie finansowania chemioterapii.

Kapecytabina była wielokrotnie przedmiotem oceny zasadności finansowania w leczeniu nowotworów złośliwych dróg żółciowych i trzustki (C22.1, C23, C24, C25). W opinii nr 157/2023 z 18 września 2023 r. Rada Przejrzystości uznała za zasadną kontynuację refundacji kapecytabiny w ramach uzupełniającego leczenia pooperacyjnego raka dróg żółciowych, natomiast w opinii nr 78/2022 z 16 maja 2022 r. Rada uznała za zasadną kontynuację jej finansowania w przypadku nowotworu złośliwego trzustki w ramach uzupełniającego leczenia pooperacyjnego w skojarzeniu z gemcytabiną. Powyższe opinie nadal obowiązują. Obecnie AOTMiT przeprowadziła aktualizację/uzupełnienie danych zamieszczonych w raportach, które były podstawą wydania ww. opinii Rady.

Według wytycznych amerykańskich (NCCN 2023), w leczeniu raka przewodów żółciowych wewnątrztrzewotkowych, nowotworu złośliwego pęcherzyka żółciowego oraz nowotworu złośliwego innych i nieokreślonych części dróg żółciowych kapecytabina zalecana jest w ramach leczenia adjuwantowego samodzielnie (opcja preferowana), w połączeniu z oksaliplatyną lub w połączeniu z cisplatyną. Natomiast w przypadku chemioterapii połączonej z radioterapią zaleca się stosowanie 5-FU lub kapecytabiny. Wytyczne europejskie (ESMO 2023) w przypadku nowotworu złośliwego trzustki rekomendują stosowanie terapii skojarzonej gemcytabina + kapecytabina u pacjentów w gorszej kondycji.

Według danych NFZ w okresie od 1 lipca 2022 r. do 30 czerwca 2023 r. finansowanie kapecytabiny we wskazaniach pozarejestacyjnych C22.1, C23, C24, C25 wyniosło około 300 tys. zł. Wiodącą populacją byli pacjenci z nowotworem złośliwym trzustki.

Od wydania poprzednich dwóch ww. opinii nie pojawiły się nowe dowody naukowe wskazujące na konieczność zmiany dotychczasowego wnioskowania,

dlatego Rada uznaje za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających kapecytabinę w leczeniu nowotworów złośliwych dróg żółciowych i trzustki.

Główne argumenty decyzji:

- *ugruntowana praktyka kliniczna stosowania schematów chemioterapii zawierających kapecytabinę w leczeniu nowotworów ujętych w projekcie załącznika C5.b do Listy refundacyjnej;*
- *brak istotnego wpływu na wydatki płatnika publicznego.*

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2023 r., poz. 2555 z poz. 826), 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: WS.422.4.2024 (Aktualizacja opracowań nr: OT.422.1.32.2023, OT.4221.19.2022) „Capecitabinum we wskazaniach: ICD-10: C00-C15, C17, C21, C22.1, C23-C25”; data ukończenia: 22.02.2024 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 29/2024 z dnia 26 lutego 2024 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną
rytuksymab we wskazaniu pozarejestacyjnym: miastenia

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją substancji czynnej rytuksymab we wskazaniu pozarejestacyjnym: miastenia, w ramach programu lekowego.

Uzasadnienie

Częstość występowania miastenii wynosi 50-125/mln, roczna zapadalność – 2-4/mln. MG dotyczy zarówno mężczyzn, jak i kobiet, występują 2 szczyty zachorowań: do 40. r.ż. (2-3 razy częściej chorują kobiety) i po 60. r.ż. (częściej chorują mężczyźni). Stwierdzono wzrastającą częstość miastenii z autoprzeciwciałami przeciwko receptorowi AChR wśród osób starszych. Obecna liczba zachorowań w Polsce wynosi 8690 pacjentów.

Rytuksymab od kilkunastu lat jest stosowany w terapii miastenii (Vesperinas-Castro & Cortés- Vicente, 2023, Narayanaswami et al., 2021; Sanders et al., 2016). Pod koniec 2023 roku ukazały się wytyczne leczenia zespołów miastenicznych opracowane przez ekspertów z ośrodków niemieckich, austriackich oraz szwajcarskich (Wiendl et al., 2023), uwzględniające wyniki najnowszych badań klinicznych. W zaleceniach tych zarekomendowano rozważenie stosowania rytuksymabu jako opcja leczenia immunosupresyjnego pierwszego wyboru (w połączeniu lub bez połączenia ze steroidami i/lub innymi niesteroidowymi lekami immunosupresyjnymi) u pacjentów z wysoką aktywnością choroby. Terapia rytuksymabem jest szczególnie korzystna u pacjentów z przeciwciałami anti-MuSK. W pozostałych grupach pacjentów (z przeciwciałami anti-AChR lub seronegatywnych) terapia ta jest kierowana do osób z agresywnym przebiegiem choroby.

Ekspert podkreśla, że terapia anti-CD20 (np. rytuksymabem) jest jednym z aktualnych standardów, obok inhibitorów C5 dopełniacza oraz modulatorów nFcR, leczenia miastenii o agresywnym przebiegu. W przypadku pacjentów z przeciwciałami anti-MuSK jest to terapia pierwszego wyboru. Nie zastępuje innych terapii, ale jest do nich komplementarna i może zmniejszyć ilość osób wymagających droższych leków takich jak efgartigimod czy rawulizumab.

Zgodnie z oszacowaniami roczny koszt stosowania rytuksymabu we wnioskowanej populacji wyniesie od 422 tys. zł do maksymalnie 4,919 mln zł.

Główne argumenty decyzji

- *Niezaspokojona potrzeba u pacjentów z miastenią oraz fakt, że tradycyjne terapie immunosupresyjne nie zawsze są skuteczne i mogą wiązać się ze znaczącymi działaniami niepożądanymi;*
- *Stosowanie rytuksymabu na wcześniejszym etapie ścieżki klinicznej MG o wczesnym początku może stanowić skuteczną opcję leczenia dla pacjentów i ograniczać stosowanie długoterminowych steroidów, a także może eliminować lub opóźniać potrzebę stosowania innych terapii immunosupresyjnych.*

Uwaga do zapisu programu

Nie można jednoznacznie wskazać optymalnego schematu dawkowania rytuksymabu. W piśmiennictwie brak jest jednoznacznych zaleceń odnośnie odpowiedniej dawki, czy podziału na schemat leczenia inicjujący oraz podtrzymujący. Rada przychyliła się do opinii konsultanta, że istnieje kliniczne uzasadnienie, aby w leczeniu podtrzymującym również była możliwość stosowania dawki inicjującej.

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. 2555 z poz. 826), 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.422.1.6.2024 „Rytuksymab we wskazaniu pozarejestacyjnym: miastenia w ramach programu lekowego”; data ukończenia: 21 lutego 2024 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 30/2024 z dnia 26 lutego 2024 roku
o projekcie programu „Program profilaktyki zaburzeń depresyjnych
wśród nastolatków uczęszczających do szkół na terenie Gminy Miasta
Marki na lata 2024-2026”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki zaburzeń depresyjnych wśród nastolatków uczęszczających do szkół na terenie Gminy Miasta Marki na lata 2024-2026”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny Rady jest projekt PPZ zaplanowany do realizacji przez Gminę Miasto Marki. Projekt PPZ odnosi się do istotnego problemu zdrowotnego jakim jest depresja występująca wśród dzieci i młodzieży. Wnioskodawca przedstawił dane statystyczne dot. zaburzeń psychicznych i depresji oraz ich definicje wraz z możliwymi rodzajami. Odniesiono się do najczęstszych objawów oraz metod leczenia. Projekt jest zbieżny z celem Narodowego Programu Zdrowia (NPZ) na lata 2021-2025: „Promocja zdrowia psychicznego”, a także odnosi się do Narodowego Programu Ochrony Zdrowia Psychicznego na lata 2023-2030. Działania realizowane w ramach programu skierowane będą do dzieci i młodzieży w wieku 13-14 lat uczęszczających do VII klas szkół podstawowych znajdujących się na terenie miasta Marki. Populację docelową programu będą stanowić także rodzice/opiekunowie prawni dzieci w zakresie działań edukacyjnych oraz nauczyciele, psychologowie i pedagodzy ze szkół podstawowych w zakresie szkoleniowym. Wnioskodawca wskazał, że do programu zostanie włączonych łącznie ok. 1 860 dzieci oraz 1 860 rodziców/opiekunów prawnych dzieci.

W treści projektu PPZ zaznaczono, że szkolenie dla kadry pedagogicznej zostanie zorganizowane jednokrotnie – w pierwszym roku realizacji programu, a do uczestnictwa w nim zaproszonych zostanie ok. 80 osób. Wskazano, że będzie to ok. 70 nauczycieli (wychowawców klas V, VI i VII w roku szkolnym 2024/2025), a także zaproszeni zostaną psychologowie i/lub pedagodzy z 5 publicznych szkół podstawowych na terenie gminy.

W projekcie PPZ oszacowano liczebność populacji dzieci i młodzieży w każdym roku realizacji programu. Wskazano na ok. 613 osób w 2024 r., ok. 635 osób w 2025 r. oraz ok. 611 osób w 2026 r. Podkreślono, że działania edukacyjne i badania przesiewowe obejmą całą populację klas VII szkół podstawowych. Zaznaczono jednocześnie, że poznawczo-behawioralna terapia zaburzeń nastroju będzie świadczeniem realizowanym w odniesieniu do nastolatków z pozytywnym wynikiem badania przesiewowego (standaryzowanego kwestionariusza umożliwiającego ocenę profilu i nasilenia objawów depresyjnych).

Określono kryteria kwalifikacji do programu, tj.: wiek 13-14 lat, pozostawanie uczniem klasy VII publicznej szkoły podstawowej, posadowionej na terenie miasta Marki; pisemna zgoda rodzica/opiekuna prawnego dziecka na udział w programie. W odniesieniu do działań edukacyjnych – bycie rodzicem/opiekunem prawnym dziecka uprawnionego do udziału w programie. W odniesieniu do działań szkoleniowych – bycie nauczycielem – wychowawcą klas V-VII w roku szkolnym 2024/2025, pedagogiem lub psychologiem w publicznej szkole podstawowej, posadowionej na terenie miasta Marki.

Kryteria wyłączenia z programu będą stanowić: zdiagnozowane uprzednio zaburzenia nastroju; pozostawanie pod opieką poradni psychologicznej lub poradni psychiatrycznej w zakresie działań zaplanowanych w programie; przeciwwskazania zdrowotne.

W ramach programu planowane jest przeprowadzenie działań szkoleniowych z zakresu zaburzeń depresyjnych dla wychowawców, pedagogów i psychologów szkolnych, działań edukacyjnych skierowanych do dzieci i młodzieży oraz ich rodziców/opiekunów prawnych, a także działań z zakresu diagnozy i poznawczo-behawioralnej terapii zaburzeń nastroju u zakwalifikowanych osób. Działania szkoleniowe prowadzone będą z zakresu zaburzeń depresyjnych oraz przeznaczone będą dla wychowawców, pedagogów i psychologów szkolnych. Tematyka szkoleń obejmować będzie zagadnienia dotyczące czynników ryzyka występowania zaburzeń depresyjnych, specyfiki zaburzeń depresyjnych, zaburzeń lękowych oraz stresu w szkole wśród dzieci i młodzieży, a także następstw zdrowotnych zaburzeń nastroju, skuteczności działań zapobiegawczych, konsekwencji bagatelizowania objawów chorobowych i zaniedbań diagnostycznych. Podkreślono, że ww. działanie zostanie zrealizowane w formie online.

W projekcie zawarto koszty jednostkowe oraz koszt całkowity. W kosztach jednostkowych uwzględniono: 2 000 zł – akcja edukacyjno-informacyjna, 3 000 zł – działania szkoleniowe dla wychowawców, pedagogów, psychologów, 300 zł/rok – edukacja zdrowotna dla rodziców/opiekunów prawnych dzieci, edukacja zdrowotna nastolatków – prowadzona będzie w ramach zajęć szkolnych z wychowawcami, którzy wezmą udział w działaniach

szkoleniowych w ramach programu, 20 zł – badania przesiewowe, 2 160 zł/rok – poznawczo-behawioralna terapia zaburzeń nastroju (cykl 12 spotkań), 1 000 zł/rok – koszt monitorowania i ewaluacji.

W projekcie istnieje nieścisłość odnośnie do kosztu akcji informacyjno-edukacyjnej. W tabeli dot. kosztów jednostkowych przy kategorii kosztu „akcja informacyjno-edukacyjna” wskazano na kwotę 2 000 zł. Natomiast w tabelach przedstawiających koszty całkowite roczne w podziale na poszczególne interwencje przy kategorii kosztu „akcja informacyjno-edukacyjna” wskazano kwotę 1 500 zł.

Program ma zostać sfinansowany ze środków miasta Marki. W projekcie PPZ wskazano, że Urząd Miasta Marki w latach 2025-2026 będzie starał się o dofinansowanie 40% kosztów działań realizowanych w programie przez Mazowiecki Oddział Narodowego Funduszu Zdrowia na podstawie art. 48d ust. 1 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych.

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.431.100.2023 „Program profilaktyki zaburzeń depresyjnych wśród nastolatków uczęszczających do szkół na terenie Gminy Miasta Marki na lata 2024-2026” realizowany przez: Miasto Marki; data ukończenia: luty 2024 oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy zdrowotne z zakresu zdrowia psychicznego – wspólne podstawy oceny”; luty 2015 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 31/2024 z dnia 26 lutego 2024 roku
o projekcie programu „Program Profilaktyki Zdrowotnej w zakresie
Profilaktyki Stomatologicznej w Gminie Gostycyn na lata 2024-2027”

Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program Profilaktyki Zdrowotnej w zakresie Profilaktyki Stomatologicznej w Gminie Gostycyn na lata 2024-2027”.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest projekt PPZ z zakresu profilaktyki stomatologicznej na lata 2024-2027. Projekt programu dotyczy istotnego problemu zdrowotnego - próchnicy zębów. Populację docelową stanowią mieszkańcy gminy Gostycyn powyżej 19 r.ż.

Założonym celem jest „poprawa stanu zdrowia jamy ustnej osób dorosłych i seniorów uczestniczących w programie poprzez zatrzymanie wskaźnika PUW (wskaźnika higieny jamy ustnej, próchnicy, chorób przyzębia) w wyniku wdrażania działań profilaktycznych uzyskana podczas rekrutacji wśród populacji zameldowanej na terenie Gminy Gostycyn”. W PPZ wskazano 3 cele szczegółowe. Należy nadmienić, że w Gminie brak jest podmiotu z kontraktem na leczenie stomatologiczne.

W ramach programu zaplanowano przeprowadzenie wizyty kwalifikacyjnej, świadczeń stomatologicznych oraz działań edukacyjnych.

Zaplanowano kryteria włączenia i wyłączenia, istnieje nieścisłość co do potencjalnej liczby uczestników PPZ. Każdy uczestnik programu będzie posiadał swoją „Kartę Uczestnika Programu”.

Koszt całkowity programu oszacowano na 240 000 zł (60 000 zł rocznie). Program ma zostać sfinansowany ze środków finansowych gminy Gostycyn.

Uwagi Rady

- Rodzaj realizowanych świadczeń sformułowano w sposób ogólny i nie jest jasne, jakie konkretnie świadczenia będą realizowane i trudno stwierdzić, czy nie będą powtórzeniem świadczeń refundowanych przez NFZ.*
- W ramach planowanych świadczeń stomatologicznych nie wyodrębniono kosztów świadczeń diagnostycznych, profilaktycznych i leczniczych.*

- *W PPZ brak jest informacji o przygotowaniu protokołu edukacyjnego, na podstawie którego realizowana będzie edukacja. Dla zachowania spójności przekazu, wartościami byłyoby skorzystanie z wytycznych znajdujących się w Raporcie AOTMiT – rekomendacje NICE. Jednocześnie należy podkreślić, że EBM wskazują na realizację edukacji także przez nauczycieli, jak i pracowników służby zdrowia.*
- *Program wymaga:*
 - *uzupełnienia w test oceny wiedzy;*
 - *zdefiniowania wskaźnika dla „wysoki poziom wiedzy”;*
 - *przeformułowania celów szczegółowych nr 2 i 3;*
 - *uszczegółowienia pozycji budżetu;*
 - *doprecyzowania zakresu świadczeń realizowanych w programie;*
 - *określenia limitu kosztów świadczeń na jednego usługobiorcę.*
- *Należy zauważyć, że „pielęgniarka stomatologiczna” nie znajduje się wykazie zawodów medycznych.*

Program powinien zostać poprawiony i przekazany do ponownego rozpatrzenia.

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.431.1.2024 „Program Profilaktyki Zdrowotnej w zakresie Profilaktyki Stomatologicznej w Gminie Gostycyn na lata 2024-2027”; data ukończenia: luty 2024 oraz Raportu nr: OT.431.74.2022 dot. programu polityki zdrowotnej pn. „Program polityki zdrowotnej Gminy Kleszczów na lata 2023-2025 w zakresie profilaktyki schorzeń zębów i jamy ustnej”.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 32/2024 z dnia 26 lutego 2024 roku
o projekcie programu „Zadbaj o prawidłowy poziom cholesterolu
w Twojej Rodzinie. Małopolski program profilaktyki
hipercholesterolemii rodzinnej”

Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Zadbaj o prawidłowy poziom cholesterolu w Twojej Rodzinie. Małopolski program profilaktyki hipercholesterolemii rodzinnej”.

Uzasadnienie

Głównym założeniem projektu programu jest diagnostyka genetyczna w kierunku rodzinnej hipercholesterolemii u pacjentów z poziomem TC ≥ 300 mg/dL ($\geq 7,76$ mmol/L) i/lub cholesterolu LDL ≥ 200 mg/dl ($\geq 5,69$ mmol/L) i/lub już zdiagnozowaną przedwczesną (< 55 r.ż. mężczyźni, < 60 r.ż. kobiety) chorobą wieńcową (zawał serca) lub chorobą tętnic mózgowych, lub obwodowych (udar mózgu), co prowadzić będzie do zoptymalizowania dotychczasowego leczenia i edukacji prozdrowotnej u nosicieli mutacji i ich rodzin pochodzących z Małopolski.

Zaproponowany cel główny składa się z kilku odrębnych założeń. Wszystkie z zaproponowanych założeń, tj. diagnostyka, zoptymalizowanie dotychczasowego leczenia oraz edukacja prozdrowotna zostały sformułowane nieprawidłowo, w postaci działania.

W treści projektu wskazano również 6 celów szczegółowych, tj. (1) ostateczne-jednoznaczne potwierdzenie genetycznego podłoża FH u pacjentów z hipercholesterolemią poprzez badania molekularne całego panelu genów najnowsza technologią (sekwencjonowania następnej generacji, NGS) dedykowaną do tego typu diagnostyki u pacjentów z chorobami sercowo-naczyniowymi (badania te nie są refundowane przez NFZ), (2) zwiększenie dostępności testowania genetycznego w celu przyspieszenia postawienia diagnozy już u młodych pacjentów poprzez przeprowadzenie diagnostyki kaskadowej wśród krewnych pierwszego stopnia, (3) wczesne wdrożenie odpowiedniej farmakoterapii, profilaktyki i badań okresowych, jeszcze przed wystąpieniem pierwszych objawów miażdżycy, szczególnie u bezobjawowych członków rodziny z potwierdzoną diagnozą FH, (4) ograniczenie ryzyka sercowo-naczyniowego, a w konsekwencji zmniejszenia chorobowości i śmiertelności

wynikającej z chorób sercowo-naczyniowych poprzez współpracę pomiędzy lekarzem rodzinnym, diagnostą laboratoryjnym wykonującym badania genetyczne a kardiologami/genetykami, (5) edukację prozdrowotną, zwiększenie świadomości i wiedzy na temat FH u pacjentów, co będzie prowadzić do zoptymalizowania leczenia i aktywnej profilaktyki skutkując poprawą jakości życia” oraz (6) wykrycie i poznanie nowych wariantów genów związanych z FH, co przyczyni się do poszerzenia wiedzy i zrozumienia podłoża choroby.

Wszystkie cele szczegółowe zostały sformułowane nieprawidłowo, gdyż brzmią zbyt ogólnikowo i nie wskazano dla nich wartości docelowych. Cel nr 1 i 3 zostały sformułowane nieprawidłowo, w postaci działania. Cel nr 2 nie odnosi się do efektu zdrowotnego. Należy podkreślić, że zwiększenie dostępności do procedury medycznej nie musi oznaczać poprawy zdrowia pacjentów. Cel nr 4 składa się z kilka odrębnych założeń. Cel dot. ograniczenia ryzyka sercowo-naczyniowego został sformułowany zbyt ogólnie, co utrudnia dobór mierników efektywności. Z kolei cele dot. zmniejszenia chorobowości i śmiertelności wynikającej z chorób sercowo-naczyniowych, biorąc pod uwagę zaproponowane w projekcie działania diagnostyczne i szacowaną populację docelową, jedynie w niewielkim stopniu mogą przyczynić się do zmiany ww. wskaźników. Cel nr 5 również składa się z kilku odrębnych założeń. Cel dot. edukacji prozdrowotnej został sformułowany nieprawidłowo, w postaci działania. Założenie dot. zwiększenia świadomości jest w istocie niemierzalne. Z kolei cel dot. wzrostu wiedzy byłby możliwy do realizacji za pomocą zaplanowanych w programie działań edukacyjnych, jednak w projekcie nie zaplanowano przeprowadzenia pre- i post-testu pozwalającego na weryfikację wiedzy. Nie wskazano także wartości docelowej, do jakiej należy dążyć. Cel szczegółowy nr 6 nie odnosi się do efektu zdrowotnego. W projekcie nie przedstawiono żadnego poprawnie sformułowanego celu szczegółowego.

Wszystkie mierniki efektywności również zostały sformułowane wadliwie (nie spełniają definicji miernika efektywności). Liczebność populacji oszacowano w sposób niezrozumiały. Nie uwzględniono udziału krewnych osób z wykrytą FH.

Hipercholesterolemia rodzinna (FH, ang. familial hypercholesterolaemia) jest to monogenowa, dziedziczona w sposób autosomalny dominujący dyslipidemia, która w wyniku trwającego na przestrzeni życia podwyższonego stężenia LDL-C (cholesterol frakcji lipoprotein o małej gęstości, ang. low-density lipoprotein cholesterol) w surowicy, prowadzi do przedwczesnych powikłań miażdżycowych.

Wyróżnia się dwie postaci choroby:

- Heterozygotyczną (HeFH, ang. heterozygous familial hypercholesterolemia), która występuje średnio u 1:200-1:250 osób oraz

- *homozygotyczną (HoFH, ang. homozygous familial hypercholesterolaemia), która jest rzadką chorobą zagrażającą życiu, gdzie u większości pacjentów przed 20 r.ż. rozwijają się choroba niedokrwienna serca (ang. coronary artery disease, CAD) oraz stenoza aortalna, a przed ukończeniem 30 r.ż. – przeważająca część chorych umiera. Częstość występowania tej postaci szacuje się na 1:160 000-1:300 000.*

Nieleczona FH najczęściej prowadzi do przedwczesnej choroby niedokrwiennej serca – u kobiet przed 60 r.ż., a u mężczyzn przed 55 r.ż. (nawet 10-krotny wzrost ryzyka CAD). FH prowadzi do znacznego przyspieszenia rozwoju miażdżycy już we wczesnym dzieciństwie, a powikłania w postaci występowania incydentów sercowo-naczyniowych mogą się już pojawić w młodym wieku na skutek trwającego przez całe życie podwyższonego stężenia cholesterolu całkowitego (TC) w surowicy krwi, szczególnie frakcji lipoprotein o małej gęstości (LDL).

Rozpoznanie FH opiera się w większości przypadków na obrazie klinicznym, ale obecnie znacząco wzrosła waga badań molekularnych, szczególnie badań metodą sekwencjonowania następnej generacji (NGS, ang. „next generation sequencing”). W żadnych rekomendacjach klinicznych nie wskazano jednak metody NGS jako szczególnie zalecanej w badaniu genetycznym osób z FH. Wytyczne zalecają jedynie wykonanie badania genetycznego.

Obecnie w Polsce prowadzony jest „Narodowy Program Chorób Układu Krążenia (NPChUK)” naceLOWany na obniżenie zachorowalności i umieralności z powodu ChUK, którego realizację zaplanowano do końca 2032 roku. W ramach programu zaplanowano szeroką strategię obejmującą swoim zakresem inwestycje zarówno w zdrowie i wiedzę samego pacjenta, jak i edukację personelu medycznego. Program zakłada poprawę zgłaszalności na badania przesiewowe oraz zwiększenie zaangażowania personelu medycznego POZ i medycyny pracy w identyfikację oraz ocenę czynników ryzyka ChUK. Program obejmuje także problematykę zwiększenia liczby wcześnie wykrywanych przypadków hipercholesterolemii rodzinnej w polskiej populacji ogólnej. Zgodnie z opublikowanym raportem Ministerstwa Zdrowia z roku 2022, omawiane działania naceLOWane na hipercholesterolemię rodzinną zostaną wdrożone do realizacji na przestrzeni roku 2025. Obecnie tylko około 5% pacjentów z FH w Polsce zostało zdiagnozowanych. Problem niedodiagnozowania genetycznie FH nadal stanowi wyzwanie dla polskiego systemu ochrony zdrowia.

Zdaniem Wnioskodawcy wczesne wyłonienie i leczenie chorych z FH powinno się przyczynić do poprawy jakości i długości życia chorych i ich rodzin. Wczesna identyfikacja chorych, w okresie przed wystąpieniem objawów i ich leczenie powinno znacznie zredukować koszty w systemie ochrony zdrowia. Z danych

dostępnych na stronie internetowej Krajowego Centrum Hipercholesterolemii Rodzinnej wynika, iż w Polsce funkcjonują tylko 4 specjalistyczne poradnie lipidowe dla osób dorosłych (dwie w Warszawie, jedna w Gdańsku i jedna w Krakowie). FH jest obecnie najczęstszą chorobą genetyczną dziedziczną autosomalnie dominującą. Prognozuje się, że w Polsce cierpi na nią ok. 120 000–140 000 dorosłych osób, dane te jednak mogą być niedoszacowane.

W populacji województwa małopolskiego między 20 a 74 r.ż. ok 2% mieszkańców ma poziom TC \geq 300 mg/dL (\geq 8,00 mmol/L) lub cholesterolu LDL \geq 230 mg/dl (\geq 6,00 mmol/L). Zgodnie z wynikami badań WOBASZ przypadki hipercholesterolemii w grupie wiekowej powyżej 20 r.ż. u mężczyzn wynosiły 70,3%, natomiast u kobiet – 64,3%.

W przypadku mieszkańców województwa małopolskiego choroby serca są pierwszą co do częstości przyczyną zgonów. W 2021 roku w Polsce zanotowano ogółem 519 517 zgonów, z czego 34,79% miało swą przyczynę w chorobach układu krążenia. W województwie małopolskim zarejestrowano ogółem 40 725 zgonów, gdzie choroby układu krążenia zidentyfikowano jako główną przyczynę zgonu w aż 38,1% [15 518 zgonów]. Wynik ten klasyfikuje Małopolskę na niechlubnym podium w ilości zgonów z przyczyn sercowo-naczyniowych (po województwie śląskim, mazowieckim oraz dolnośląskim). Spośród chorób układu krążenia choroba niedokrwienna serca jest główną przyczyną zgonu w tej grupie, odpowiadającą w Małopolsce za 9 857 zgonów w roku 2021.

Okres realizacji programu zaplanowany został na lata 2024-2025, z perspektywą kontynuacji w kolejnych latach.

Populacja i interwencja

Populację docelową programu stanowić będą osoby powyżej 20 roku życia z podwyższonym poziomem TC \geq 300 mg/dL (\geq 7,76 mmol/L) i/lub cholesterolu LDL \geq 200 mg/dl (\geq 5,69 mmol/L) i/lub już zdiagnozowaną przedwczesną (<55 r.ż. mężczyźni, <60 r.ż. kobiety) chorobą wieńcową (zawał serca) lub chorobą tętnic mózgowych, lub obwodowych (udar mózgu) z terenu województwa małopolskiego. Spośród populacji docelowej spełniającej w/w kryteria tj. ok 600 osób, do programu zostanie włączonych 150 osób, czyli ok. 22% tej populacji. Nie jest jasne, na jakiej podstawie oszacowano wielkość populacji docelowej w liczbie ok. 600 osób. Przy szacowaniu populacji docelowej nie uwzględniono członków rodziny – krewnych pierwszego stopnia z genetycznie potwierdzoną FH (n=300), którzy, zgodnie z informacjami podanymi w części dotyczącej budżetu zostaną objęci konsultacją lekarską, badaniem genetycznym metodą Sangera oraz u których zostanie wykonany lipidogram.

Wnioskodawca określił kryteria włączenia do badania, którymi będą: stężenie TC \geq 300 mg/dL (\geq 7,76 mmol/L) i/lub stężenie cholesterolu LDL \geq 200 mg/dl (\geq 5,69

mmol/L) przy prawidłowym stężeniu TG; wystąpienie zawału serca lub/i udaru mózgu przed 55 rokiem życia u mężczyzn oraz przed 60 rokiem życia u kobiet.

Wnioskodawca poinformował, że uczestnictwo w programie będzie wymagało wyrażenia świadomej zgody przez każdego z uczestników. Podkreślono także, że projekt jest zgodny z zasadą równości szans i niedyskryminacji.

Wnioskodawca wymienił kryteria wykluczenia z programu, tj. choroby nerek; cukrzyca; niedoczynność tarczycy; choroby wątroby; ciąża; stosowanie leków, które mogą powodować takie zaburzenia, w tym progestagenów, steroidów anabolicznych czy glikokortykosteroidów; posiadanie wyniku genetycznego potwierdzającego obecność FH.

Wnioskodawca nie odniósł się szczegółowo do kryteriów włączenia/wyłączenia populacji, którą stanowić będą krewni osób ze zdiagnozowaną FH.

W ocenianym PPZ zaplanowano interwencje diagnostyczne, konsultacje specjalistyczne (genetyczna/kardiologiczna i dietetyczna) oraz działania edukacyjne. Kwalifikacji uczestników do programu dokona lekarz (POZ lub specjalista w dziedzinie kardiologii, neurologii lub lekarz specjalista chorób wewnętrznych lub lekarz w trakcie specjalizacji w dziedzinie kardiologii/neurologii lub lekarz w trakcie specjalizacji w dziedzinie chorób wewnętrznych) na podstawie przeprowadzonego wywiadu wstępnego i braku wyniku badania genetycznego w kierunku FH.

W projekcie wskazano, że na podstawie skierowania na badania wystawionego przez lekarza POZ/poradni/oddziału szpitalnego po interwencji, u każdego uczestnika zostaną wykonane badania biochemiczne, a następnie diagnostyka genetyczna metodą NGS w kierunku FH. Na interwencje diagnostyczne złożą się badanie stężenia cholesterolu całkowitego, frakcji LDL cholesterolu, frakcji HDL cholesterolu oraz trójglicerydów w surowicy oraz badanie genetyczne metodą NGS, które zostanie wykonane u pierwszej osoby w rodzinie diagnozowanej genetycznie.

Wnioskodawca zaznacza, że w przypadku otrzymania wyniku nieprawidłowego (tzn. obecności mutacji w jednym z badanych genów z panelu), krewni pierwszego stopnia (max. 2 osoby) zostaną zaproszeni na pobranie krwi celem przeprowadzenia badań biochemicznych i zbadania obecności zmiany genetycznej wykrytej u probanta. Badanie to zostanie przeprowadzone metodą Sangera. Wnioskodawca zaznaczył, że w przypadku, gdy zajdzie potrzeba diagnostyki genetycznej >2 członków rodziny możliwe będzie wykonanie badań metodą Sangera w poradni genetycznej w ramach refundacji z NFZ. Zaproponowane badanie w kierunku FH jest zgodne z rekomendacjami, wg których w celu klinicznego rozpoznania hipercholesterolemii rodzinnej należy kierować się kryteriami DLCN (PTL/KLRwP/PTK/PTDL/PTD/PTNT 2021, IAS 2023, RACGP 2023, KSLA 2022, ESC/EAPC 2021, FHANCWG 2021, ESC/EAS 2019, NICE 2019, IFHF 2015).

Zgodnie z rekomendacjami zaleca się też przeprowadzanie genetycznej diagnostyki kaskadowej wśród krewnych pierwszego stopnia (PTL/KLRwP/PTK/PTDL/PTD/PTNT 2021, IAS 2023, RACGP 2023, ACC 2018, CCS 2018, CSANZ 2016, IFHF 2015).

Zaleca się badania przesiewowe w kierunku HoFH w przypadku podejrzenia klinicznego i/lub przedwczesnej choroby sercowo-naczyniowej o podłożu miażdżycowym (ASCVD); (EAS 2023, IAS 2023, ESC/EAPC 2021, FHANCWG 2021, ESC/EAS 2019, ACC 2018, CSANZ 2016, IFHF 2015).

Zgodnie z wytycznymi podstawą do przeprowadzenia badań genetycznych w kierunku FH, jest podejrzenie FH na podstawie stwierdzenia charakterystycznych cech fenotypowych u pacjenta (JCCG 2023, KSLA 2022, FHANCWG 2021, NICE 2019, CCS 2018, IFHF 2015).

Konsultacje specjalistyczne (genetyczna/kardiologiczna i dietetyczna).

Każdy uczestnik badania będzie objęty konsultacją lekarską z omówieniem otrzymanych wyników badań genetycznych oraz poradą prozdrowotną obejmującą edukację w zakresie czynników ryzyka chorób układu krążenia, a w szczególności tych, których modyfikacja wskazana jest u konkretnego uczestnika. W przypadku konieczności intensyfikacji działań prozdrowotnych uczestnik kierowany będzie na konsultację dietetyczną.

Realizacja konsultacji dietetycznych, obejmujących zalecenia w zakresie stosowania diety niskotłuszczowej, (porady udzielane przez dietetyka przez okres 8 tygodni co 15-30 dni skutkowało istotną statystycznie redukcją stężenia LDL-C (-6,4%; $p < 0,05$) oraz TC (-6,3%; $p < 0,01$) u osób dorosłych z FH leczonych simwastatyną (Roy 2021).

Interwencja edukacyjna polegać będzie na przekazaniu wszystkim uczestnikom programu materiałów dydaktycznych na temat sposobów modyfikacji czynników ryzyka i stylu życia, rozpoznawania wczesnych objawów chorób układu sercowo-naczyniowego, nawyków żywieniowych i wzorców aktywności fizycznej oraz sposobów radzenia sobie z niekorzystnymi czynnikami psychospołecznymi. Materiały te mogą opierać się na ogólnodostępnych treściach zamieszczonych na Polskim Forum Profilaktyki Chorób Układu Krążenia. W projekcie nie zaplanowano przeprowadzenia pre- i post-testu pozwalającego na weryfikację wiedzy uczestników.

Zaproponowane przez wnioskodawcę interwencje edukacyjne i dietetyczne są zgodne z wytycznymi, zgodnie z którymi osobom dorosłym z FH należy oferować poradnictwo obejmujące modyfikację stylu życia (w zakresie diety, regularnej aktywności fizycznej, ograniczenie spożycia alkoholu), interwencje psychologiczne oraz poradnictwo dotyczące modyfikowalnych czynników ryzyka (np. palenie tytoniu, nadciśnienie, otyłość, cukrzyca) (FHANCWG 2021, NICE 2019, CCS 2018, CSANZ 2016, IFHF 2015).

Należy wskazać, że zgodnie z Rozporządzeniem Ministra Zdrowia z dnia 24 września 2013 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu podstawowej opieki zdrowotnej (Dz. U. 2023 poz. 1427 z późn. Zm) pacjent ma dostęp świadczeń z zakresu profilaktyki chorób układu krążenia, kontraktowanych przez Narodowy Fundusz Zdrowia.

Projekt zawiera szczegółowy opis etapów i działań podejmowanych w ramach programu. Pierwszym etapem będzie rekrutacja uczestników i akcja promocyjno-informacyjna. Po zakwalifikowaniu uczestników przez lekarza na podstawie wywiadu wstępnego, zostaną wykonane badania biochemiczne i genetyczne. Następnym etapem będzie panel konsultacji i badań dodatkowych u krewnych probanta, w przypadku uzyskania u niego nieprawidłowego wyniku (obecności mutacji w jednym z badanych genów). Jako ostatni etap zaplanowano konsultacje lekarskie i wręczenie materiałów dydaktycznych. Na zakończenie zostanie przeprowadzone monitorowanie i ewaluacja.

Wnioskodawca wskazał też, że ośrodek realizujący program powinien posiadać możliwość pełnej wysokospecjalistycznej diagnostyki laboratoryjnej (dostęp do badań laboratoryjnych uwzględnionych w projekcie).

W opisie programu odniesiono się do akcji informacyjnej, która obejmie działania w Internecie (strony www, portale społecznościowe), plakaty oraz tablice ogłoszeń w zakładach podstawowej opieki zdrowotnej, zakładach medycyny pracy, urzędach, placówkach edukacyjnych.

W projekcie wskazano, że realizator programu wybrany zostanie w drodze konkursu ofert, co jest zgodne z zapisami ustawowymi.

Projekt programu zakłada przeprowadzenie jego monitorowania i ewaluacji.

Jeśli chodzi o ocenę zgłaszalności, realizator programu będzie zobligowany do prowadzenia indywidualnej dokumentacji dla każdego uczestnika programu. prowadzone będą listy uczestnictwa w programie oraz ich analiza w trakcie realizacji programu. Późniejsza analiza dokumentacji obejmie określenie: odsetka osób, które nie zostały zakwalifikowane do programu z powodu przeciwwskazań, odsetka osób, które przeszły do etapu podstawowego czyli badania genetycznego metodą NGS, odsetka osób, które mają potwierdzoną diagnozę genetycznie uwarunkowanej FH, odsetka osób, które zostały skierowane do badań genetycznych jako członkowie rodzin, odsetka osób, które zrezygnowały z uczestnictwa w trakcie trwania programu z uwzględnieniem przyczyny rezygnacji.

W programie nie odniesiono się do oceny jakości świadczeń. Wnioskodawca nie zaplanował przeprowadzenia ankiety satysfakcji oraz nie wskazano na możliwość zgłaszania uwag.

Wnioskodawca wskazał, że ewaluacja programu będzie opierała się na porównaniu stanu sprzed wprowadzenia działań w ramach programu polityki zdrowotnej i stanu po jego zakończeniu. Zaplanowane w projekcie

mierniki efektywności zostały sformułowane nieprawidłowo, zatem przeprowadzenie kompleksowej oceny efektywności może okazać się niemożliwe.

Budżet programu

Wnioskodawca przedstawił średni koszt udziału uczestnika w programie tj. ok. 2900 zł w przypadku probantów z genetycznie potwierdzoną FH metodą NGS oraz ok. 300 zł u członków rodziny – krewnych pierwszego stopnia z genetycznie potwierdzoną FH. W treści projektu przedstawiono koszty jednostkowe składające się na ww. kwoty, tj. 100 zł – koszt konsultacji lekarskiej probanta, 50 zł – koszt konsultacji lekarskiej u krewnych I stopnia, 50 zł – koszt konsultacji dietetycznej, 10 zł – koszt materiałów edukacyjnych, 36 zł – koszt lipidogramu (TC, HDL, LDL, TG), 2 700 zł – koszt badania genetycznego metodą NGS, 200 zł – koszt badania genetycznego metodą Sangera. W treści projektu odniesiono się również do kosztu akcji informacyjnej, której koszt oszacowano na 3 000 zł. Ponadto w koszcie całkowitym uwzględniono również koszty administracyjne programu oszacowane na max. 10% łącznych kosztów realizacji programu, tj. 57 500 zł.

Należy podkreślić, że wnioskodawca nie przedstawił zakresu kosztów administracyjnych. Nie odniesiono się także do kosztów monitorowania i ewaluacji.

Koszt całkowity programu wynosi 575 700 zł. Program ma zostać sfinansowany z budżetu województwa małopolskiego.

Program powinien zostać poprawiony, zgodnie z uwagami Agencji i przekazany do ponownego rozpatrzenia.

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.431.101.2023 „Zadbaj o prawidłowy poziom cholesterolu w Twojej Rodzinie. Małopolski program profilaktyki hipercholesterolemii rodzinnej” realizowany przez: Województwo Małopolskie; data ukończenia: luty 2024.