



BP.401.3.2024.AG

**Protokół z posiedzenia
Rady Przejrzystości nr 7/2024
w dniu 12 lutego 2024 roku**

Tomasz Pasierski otworzył posiedzenie o godzinie 10:00.

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

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

Proponowany porządek obrad:

1. Ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie stanowiska w sprawie zbadania zasadności wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Keveyis (dichlorphenamide) we wskazaniach:
 - hiperkaliemiczne porażenie okresowe;
 - hipokaliemiczne porażenie okresowe.
3. Przygotowanie opinii w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną oksaliplatyna w ramach katalogu chemioterapii we wskazaniach pozarejestacyjnych wynikających z treści załącznika C.46.b OXALIPLATIN.
4. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program polityki zdrowotnej w zakresie diagnozowania i leczenia niepłodności dla mieszkańców miasta Zgorzelec na lata 2024-2028”.
5. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program polityki zdrowotnej w zakresie rozszerzenia dostępności nowoczesnych instrumentalnych metod diagnostyki i rehabilitacji dzieci z mózgowym porażeniem dziecięcym na terenie województwa mazowieckiego”.
6. Zakończenie posiedzenia.

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

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

Ad 2. Analityk Agencji zaprezentował najważniejsze informacje z raportu w sprawie zbadania zasadności wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Keveyis (import docelowy) we wskazaniach: hiperkaliemiczne porażenie okresowe, hipokaliemiczne porażenie okresowe.

We wstępnej dyskusji udział wzięli: Janusz Szyndler i Tomasz Pasierski.

Projekt stanowiska Rady przedstawił Tomasz Romańczyk.

W dalszej dyskusji uczestniczyli: Janusz Szyndler, Tomasz Pasierski i Tomasz Romańczyk.

Po doprecyzowaniu treści uchwały, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 1 do protokołu).

Ad 3. Analitik Agencji omówił raport dot. objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną oksaliplatyna w ramach katalogu chemioterapii we wskazaniach pozarejestacyjnych wynikających z treści załącznika C.46.b OXALIPLATIN.

Projekt opinii Rady przedstawił Marcin Lipowski.

W związku z brakiem głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 2 do protokołu).

Ad 4. Analitik Agencji omówił program polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego z zakresu diagnozowania i leczenia niepłodności dla mieszkańców miasta Zgorzelec na lata 2024-2028.

Projekt opinii Rady przedstawił Tomasz Młynarski.

W dyskusji uczestniczyli: Monika Urbaniak, 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 3 do protokołu).

Ad 5. Analitik Agencji podsumował raport dot. rozszerzenia dostępności nowoczesnych instrumentalnych metod diagnostyki i rehabilitacji dzieci z mózgowym porażeniem dziecięcym na terenie województwa mazowieckiego.

We wstępnej dyskusji głos zabrali: Janusz Szyndler, Tomasz Romańczyk, Dorota Kilańska i Tomasz Pasierski.

Projekt opinii Rady przedstawiła Dorota Kilańska, a głos w dyskusji Rady zabrali: Dorota Kilańska, Tomasz Pasierski i Tomasz Romańczyk.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 4 do protokołu).

Ad 6. Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 11:23.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 12/2024 z dnia 12 lutego 2024 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku Keveyis
(dichlorphenamide) we wskazaniach: hiperkaliemiczne porażenie
okresowe, hipokaliemiczne porażenie okresowe

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację leku Keveyis (dichlorphenamide) we wskazaniach:

- *hiperkaliemiczne porażenie okresowe;*
- *hipokaliemiczne porażenie okresowe,*

pod warunkiem zastosowania go u pacjentów, u których wykorzystano w leczeniu dostępne na terenie Polski rekomendowane metody leczenia lub istnieją przeciwwskazania do prowadzenia terapii z użyciem takich metod.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Dichlorofenamid obok acetazolamidu jest wskazany jako opcja leczenia przewlekłego w zapobieganiu atakom choroby w hiperkaliemicznym porażeniu okresowym oraz hipokaliemicznym porażeniu okresowym.

Stanowisko Rady Przejrzystości nr 75/2017 oraz rekomendacja Prezesa nr 46/2017 wydane na podstawie opracowania nr OT.431.4.2017 (nr zlecenia w BIP 032/2017) we wskazaniach: hiperkaliemiczne porażenie okresowe, hipokaliemiczne porażenie okresowe były negatywne, z powodu braku badań porównujących dichlorofenamid (DCP) ze wskazanymi komparatorami, potwierdzających skuteczność dichlorofenamidu względem technologii alternatywnych w ocenianych wskazaniach.

Należy zaznaczyć, że w obecnym zleceniu przekazano dodatkowe informacje, iż w leczeniu porażenia okresowego hipokaliemicznego oraz porażenia okresowego hiperkaliemicznego pacjenci stosowali acetazolamid, bez efektu klinicznego.

Dowody naukowe

Odnaleziono 4 dokumenty wytycznych tj.: prace zbiorowe ekspertów klinicznych: Matthews z 2023 r. oraz Jitpimolmard z 2020 r. dot. zaleceń postępowania z kanałopatiami mięśni szkieletowych u dzieci, pracą zbiorową ekspertów

z 2020 r. (Stunnenberg 2020) dotyczącą terapii miotonii niedystroficznych oraz pracę zbiorową ekspertów z 2018 r. (Statland 2018) dot. leczenia porażień okresowych.

Dichlorofenamid obok acetazolamidu jest wskazany jako opcja leczenia przewlekłego w zapobieganiu atakom choroby w hiperkaliemicznym porażeniu okresowym (Stunnenberg 2020, Statland 2018, Jitpimolmard 2020) oraz hipokaliemicznym porażeniu okresowym (Statland 2018, Jitpimolmard 2020). Według Statland 2018 dichlorofenamid wiąże się ze zmniejszeniem częstotliwości ataków hipokaliemicznych, zmniejszeniem nasilenia i czasu trwania ataków podczas przewlekłego leczenia, dodatkowo wytyczne Jitpimolmard 2020 wskazują na lepszą jakość dostępnych dowodów naukowych na stosowanie dichlorofenamidu w porównaniu do acetazolamidu.

Jako inne opcje leczenia przewlekłego hiperkaliemicznych porażień okresowych (zapobieganie atakom) wskazywane są: blokery kanałów sodowych (Jitpimolmard 2020, Stunnenberg 2020) i blokery kanału wapniowego (Stunnenberg 2020) oraz diuretyki (Jitpimolmard 2020, Statland 2018).

Autorzy odnalezionych publikacji zwracają uwagę na potrzebę dalszych badań nad poszukiwaniem skutecznych rozwiązań terapeutycznych leczenia porażień okresowych.

W ramach wyszukiwania wytycznych klinicznych w 2017 r. (OT.431.4.2017 Keveyis) odnaleziono dwa dokumenty niemieckiej organizacji DGN (Deutsche Gesellschaft für Neurologie) dotyczących leczenia hiperkaliemicznego i hipokaliemicznego porażenia okresowego. Odnalezione wytyczne jako profilaktykę ataków w hiperkaliemicznym porażeniu okresowym wskazały leki moczopędne i acetazolamid, natomiast w porażeniu hipokaliemicznym dichlorofenamid, acetazolamid i leki moczopędne.

W ramach aktualizacji wyszukiwania odnaleziono jedynie analizy post-hoc (Sansone 2021 i Ciafaloni 2019) do badań uwzględnionych w poprzednim raporcie AOTMiT oraz przegląd Desaphy 2021, który także uwzględnia badania przedstawione w poprzednim raporcie.

W poprzednim raporcie Agencji nr OT.431.4.2017 wskazano, że głównym ograniczeniem analizy jest brak badań porównujących DCP z acetazolamidem i hydrochlorotiazydem, wskazywanymi przez ekspertów i rekomendacje kliniczne jako technologie alternatywne dla dichlorofenamidu w leczeniu HOP i HIP. Publikacja Sansone z 2021 jest analizą post-hoc do badania Sansone 2016, uwzględnionego w raporcie AOTMiT 2017, w której przedstawiono długoterminowe wyniki dot. skuteczności i bezpieczeństwa stosowania dichlorofenamidu u pacjentów z pierwotnym porażeniem okresowym (hiper- i hipokaliemicznym), którzy ukończyli 61-tygodniowy okres badania Sansone 2016. W ocenie autorów badanie potwierdziło, że stosowanie dichlorofenamidu

pozostaje bezpieczne i skuteczne w przypadku przewlekłego stosowania, natomiast odnotowane zdarzenia niepożądane (parestezje, działania niepożądane związane z funkcjami poznawczymi) były u większości pacjentów możliwe do opanowania.

Dichlorofenamid jest jedyną zatwierdzoną przez FDA metodą leczenia zarówno hipokaliemicznego, jak i hiperkaliemicznego porażenia okresowego, podczas gdy wszystkie inne opcje opierają się na indywidualnej wiedzy klinicznej.

Problem ekonomiczny

W okresie maj 2021 – sierpień 2023 r. wydano łącznie 6 zgód na refundację produktu Keveyis (w tym 4 zgody na refundację leku podmiotu odpowiedzialnego Strongbridge Biopharma (12 opakowań) oraz 2 podmiotu Xeris Pharmaceuticals (6 opakowań)) dla 4 pacjentów w analizowanych wskazaniach, a łączna kwota zgód na refundację wyniosła ok. 1,40 mln zł.

Do pisma zlecającego MZ załączono informację, że w ramach importu docelowego w okresie maj 2021 – sierpień 2023 r. nie sprowadzono innych produktów leczniczych w analizowanych wskazaniach.

Zgodnie z raportem Agencji nr OT.4211.15.2021 w 2020 r. wydano ponadto 2 zgody na refundację produktów zawierających meksyletynę w ramach importu docelowego we wskazaniu porażenie okresowe hiperkaliemiczne (dla jednego unikalnego numeru PESEL) na kwotę łącznie 5 524 zł.

Na podstawie opinii ekspertów przedstawionych w raporcie AOTMiT z 2017 r. można oszacować populację docelową na maksymalnie 20 osób rocznie we wskazaniu hiperkaliemiczne porażenie okresowe i 120 osób rocznie we wskazaniu hipokaliemiczne porażenie okresowe, a zatem łącznie populacja docelowa będzie wynosiła nie więcej niż 140 osób rocznie, a jak wyżej zaznaczono wydano łącznie 6 zgód na refundację produktu Keveyis (18 opakowań leku) dla 4 pacjentów w analizowanych wskazaniach. Oznacza to, że oszacowanie populacji docelowej na podstawie opinii ekspertów klinicznych może mieć charakter konserwatywny, a tym samym zawyżać wyniki uproszczonej analizy wpływu na budżet.

Główne argumenty decyzji:

- dichlorofenamid wiąże się ze zmniejszeniem częstotliwości ataków hipokaliemicznych i hiperkaliemicznych, zmniejszeniem nasilenia i czasu trwania ataków podczas przewlekłego leczenia;
- lek znajduje wsparcie w wytycznych towarzystw naukowych.

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. 2555 z poz. 826), z uwzględnieniem opracowania nr: OT.4211.34.2023 „Keveyis (dichlorofenamid) we wskazaniach: hiperkaliemiczne porażenie okresowe, hipokaliemiczne porażenie okresowe”; data ukończenia opracowania: 8 lutego 2024 r. będącego aneksem do opracowania nr: OT.431.4.2017



Opinia Rady Przejrzystości
nr 17/2024 z dnia 12 lutego 2024 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną
oksaliplatyna w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania,
lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce
Produktu Leczniczego, tj. w leczeniu raka przełyku, raka dróg
żółciowych oraz chłoniaków

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną oksaliplatyna, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego tj.:

- C15 nowotwór złośliwy przełyku;

Rada Przejrzystości uznaje za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną oksaliplatyna w poniższych wskazaniach pozarejestacyjnych:

- C22 nowotwór złośliwy wątroby i przewodów żółciowych wewnątrzwątrobowych;
 - C 22.1 rak przewodów żółciowych wewnątrzwątrobowych;
- C23 nowotwór złośliwy pęcherzyka żółciowego;
- C24 nowotwór złośliwy innych i nieokreślonych części dróg żółciowych;
 - C24.0 zewnątrzwątrobowe drogi żółciowe;
 - C24.1 brodawka większa dwunastnicy Vatera;
 - C24.8 zmiana przekraczająca granice dróg żółciowych;
 - C24.9 drogi żółciowe, nieokreślone;
- C81 choroba Hodgkina;
 - C81.0 przewaga limfocytów;
 - C81.1 stwardnienie guzkowe;
 - C81.2 mieszanokomórkowa;
 - C81.3 zmniejszenie limfocytów;

- C81.7 inna choroba Hodgkina;
- C81.9 choroba Hodgkina, nieokreślona;
- C82 chłoniak nieziarniczny guzkowy (grudkowy);
 - C82.0 z małych wpuklonych (szczelinowatych = cleaved) komórek, guzkowy;
 - C82.1 mieszany z małych wpuklonych (szczelinowatych = cleaved) i wielkich komórek, guzkowy;
 - C82.2 wielkomórkowy, guzkowy;
 - C82.7 inne postacie chłoniaka nieziarnicznego guzkowego;
 - C82.9 chłoniak nieziarniczny, nieokreślony;
- C83 chłoniaki nieziarniczne rozlane;
 - C83.0 z małych komórek (rozlany);
 - C83.1 z małych wpuklonych (szczelinowatych = cleaved) komórek (rozlany);
 - C83.2 mieszany z dużych i małych komórek (rozlany);
 - C83.3 wielkomórkowy (rozlany);
 - C83.4 immunoblastyczny (rozlany);
 - C83.5 limfoblastyczny (rozlany);
 - C83.6 niezróżnicowany (rozlany);
 - C83.7 guz (chłoniak) Burkitta;
 - C83.9 rozlany chłoniak nieziarniczny, nieokreślony;
- C84 obwodowy i skórny chłoniak z komórek T;
 - C84.0 ziarniak grzybiasty;
 - C84.1 choroba Sezary'ego;
 - C84.2 chłoniak strefy T;
 - C84.3 chłoniak limfoepitelioidalny;
 - C84.4 obwodowy chłoniak z komórek T;
 - C84.5 inne i nieokreślone chłoniaki T;
- C85 inne i nieokreślone postacie chłoniaków nieziarnicznych;
 - C85.0 mięsak limfatyczny;
 - C85.1 chłoniak z komórek B, nieokreślony;
 - C85.7 inne określone postacie chłoniaka nieziarnicznego;

- C85.9 chłoniak nieziarniczny, nieokreślony;
- C88 złośliwe choroby immunoproliferacyjne
 - C88.0 makroglobulinemia Waldenströma;
 - C88.4 chłoniak typu malt.

Uzasadnienie

Wszystkie odnalezione wytyczne kliniczne (NCCN 2023, ASCO 2023, ASCO 2020, ESMO 2022 oraz NICE 2023) wskazują na zasadność stosowania chemioterapii lub chemioradioterapii w określonych przypadkach leczenia raka przełyku. W rekomendacjach NCCN schemat oparty na fluorouracylu w skojarzeniu z oksaliplatyną jest preferowany w leczeniu przedoperacyjnym oraz w chemioradioterapii (CRT). Oksaliplatyna jest preferowana w stosunku do cisplatyny ze względu na mniejszą toksyczność w schematach zalecanych w leczeniu pierwszej linii gruczolakoraków (AC) oraz raków płaskonabłonkowych (SCC) przełyku.

Wytyczne ESMO wskazują, że przedoperacyjna CRT lub przed- i okołooperacyjna chemioterapia (ChT) może być zalecana jako standard postępowania w miejscowo zaawansowanym AC przełyku i połączenia przełykowo-żołądkowego (EGJ). W leczeniu pierwszej linii zaleca się schematy ChT oparte na związkach platyny i fluoropirymidyny jako standardowe leczenie zaawansowanego nieleczzonego SCC przełyku.

Rekomendacje ASCO 2023 zalecają stosowanie niwolumabu lub pembrolizumabu w skojarzeniu z fluoropirymidyną i platyną w grupie pacjentów z AC HER2-ujemnym przełyku lub EGJ. Z kolei wytyczne ASCO 2020 wskazują docetaksel, oksaliplatynę, leukoworynę i fluorouracyl (FLOT) jako standardowe postępowanie w chemioterapii okołooperacyjnej w gruczolakoraku przełyku.

Wszystkie odnalezione publikacje z badań klinicznych (CheckMate 649, REAL3, PRODIGE 5/ACCORD 17, RATIONALE-306, Yoon 2015, O'Connor 2007, Qin 2009, Fakhrian 2014) wskazują, że zastosowanie schematów chemioterapii zawierających oksaliplatynę stanowi praktykę kliniczną w wielu krajach. Na podstawie zgromadzonego materiału nie wykazano jednoznacznie przewagi któregośkolwiek ze schematów leczenia, co nie pozwala określić pozycji terapeutycznej zajmowanej przez oksaliplatynę. W badaniach randomizowanych nie potwierdzono wyższości skojarzenia chemioterapii zawierającej oksaliplatynę z przeciwciałami celowanymi na PD-L1 lub EGFR w porównaniu do ramion kontrolnych w grupach pacjentów z rakiem ograniczonym do przełyku. Pozostałe analizowane doniesienia potwierdzają zasadność zastosowanych schematów chemioterapii z udziałem oksaliplatyny.

W opinii Konsultanta Krajowego w dziedzinie onkologii klinicznej stosowanie chemioterapii z wykorzystaniem oksaliplatyny u chorych na nowotwory przełyku i połączenia przełykowo-żołądkowego jest naukowo uzasadnione.

Odnosząc się do obciążenia budżetu płatnika publicznego przez oksaliplatynę stosowaną w leczeniu pacjentów z rakiem przełyku (C15) i bazując na danych za lata 2014-2022 oszacowano, że w latach 2024-2025 może dojść do zwiększenia wydatków o 5-8 tys. zł w pierwszym roku analizy oraz 6-15 tys. zł w roku kolejnym w zależności od przyjętego scenariusza. W ostatnim w pełni sprawozdanym 2022 roku wydatki na oksaliplatynę w populacji C15 (pomimo braku formalnej refundacji) wyniosły 21 tys. zł.

Oksaliplatyna była wielokrotnie przedmiotem oceny zasadności finansowania w leczeniu raka dróg żołądkowych (C22-C24) oraz chłoniaków (C81-C88). W ostatniej opinii z dnia 24 stycznia 2022 roku Rada Przejrzystości uznała za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną oksaliplatyna w ww. wskazaniach pozarejestacyjnych. W podsumowaniu raportu Agencji (OT.4221.52.2021), który był podstawą opiniowania Rady, stwierdzono, że nie odnaleziono wytycznych dla wszystkich podtypów chłoniaka. Dlatego obecnie postanowiono przeprowadzić uzupełniające wyszukiwanie wytycznych we wskazaniach C83 oraz C88.

W wytycznych NCCN 2024 wskazano na zasadność zastosowania schematów zawierających oksaliplatynę w terapii indukcyjnej chłoniaka nieziarniczego rozlanego z małych komórek z wpuklonym jądrem. W rekomendacjach NCCN 2024 oraz w zaleceniach PGSz 2023 nie wskazano oksaliplatyny lub innych związków platyny w leczeniu złośliwych chorób immunoproliferacyjnych na przykładzie makroglobulinemii.

W wyniku aktualnego/uzupełniającego wyszukiwania nie odnaleziono nowych dowodów naukowych spełniających kryteria włączenia dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa oksaliplatyny w leczeniu raka dróg żołądkowych (C22-C24) oraz chłoniaków (C81-C88).

Analiza dotychczasowego stanu finansowania wykazała, że oksaliplatyna w omawianych wskazaniach pozarejestacyjnych miała nieznaczny wpływ na wydatki płatnika publicznego w kwotach od 4,1 do 83,3 tys. zł rocznie. Wiodącą populacją korzystającą z oksaliplatyny finansowanej we wskazaniach off-label była populacja pacjentów z rakiem dróg żołądkowych C22-C24.

Od wydania poprzedniej opinii nie pojawiły się nowe dowody naukowe wskazujące na konieczność zmiany dotychczasowego wnioskowania, dlatego Rada uznaje za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną oksaliplatyna w leczeniu raka dróg żołądkowych oraz chłoniaków.

Główne argumenty decyzji:

- *ugruntowana praktyka kliniczna stosowania schematów chemioterapii zawierających oksaliplatynę w leczeniu raka przełyku, raka dróg żółciowych oraz chłoniaków;*
- *przewidywany niewielki wzrost wydatków 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 2022 r., poz. 2561 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 2023 r., poz. 2555 z poz. 826), z uwzględnieniem opracowania nr: OT.422.1.4.2024 : „Oxaliplatinum w leczeniu raka przełyku (ICD-10: C15) Opracowanie na potrzeby oceny zasadności finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego Oxaliplatinum w leczeniu raka dróg żółciowych (ICD-10: C22-C24) oraz chłoniaków (ICD-10: C81-C88)”; data ukończenia opracowania: 8 lutego 2024 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 18/2024 z dnia 12 lutego 2024 roku
o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej w zakresie
diagnozowania i leczenia niepłodności dla mieszkańców miasta
Zgorzelec na lata 2024-2028”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej w zakresie diagnozowania i leczenia niepłodności dla mieszkańców miasta Zgorzelec na lata 2024-2028”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady oraz uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

Niepłodność powoduje poważne konsekwencje psychologiczne i ekonomiczne, zarówno na poziomie indywidualnym, jak i społecznym. Stosownie do rekomendacji PTMR/PTG 2018, procedura zapłodnienia pozaustrojowego (IVF, ICSI) ma udowodnioną, najwyższą skuteczność spośród wszystkich metod wspomaganego rozrodu.

Część diagnostyczna ocenianego projektu programu jest skierowana do par, które od minimum 12 miesięcy bezskutecznie starają się o ciążę. W tym zakresie zaplanowano wstępną i dwie kolejne konsultacje ginekologiczne, konsultacje andrologiczną, endokrynologiczną i dietetyczną, a także badanie AMH, pakiet badań hormonalnych i rozszerzone badanie nasienia. Zakłada się, że z tej części programu skorzystają 24 pary rocznie.

Część programu obejmująca zapłodnienie pozaustrojowe jest skierowana do par, które nie mogą zrealizować planów rozrodczych poprzez spontaniczną koncepcję, przeszły badania i konsultacje w ramach części diagnostycznej lub ukończyły diagnostykę w ramach dotychczasowego programu rządowego. W tej części programu zakłada się dofinansowanie w kwocie do 7 000 zł do jednej procedury zapłodnienia pozaustrojowego w ramach dawstwa partnerskiego lub do części klinicznej i biotechnologicznej procedury w ramach dawstwa innego niż partnerskie (z wykorzystaniem żeńskich komórek rozrodczych lub męskich komórek rozrodczych) albo też dofinansowanie w wysokości do 4 000 zł do części klinicznej jednej procedury adopcji zarodka w ramach dawstwa innego niż partnerskie (przy czym do części klinicznej zaliczają się również koszty przechowywania, przetwarzania, dystrybucji i zastosowania zarodka uzyskanego od dawców). Projekt przewiduje informowanie uczestników o możliwości

skorzystania z kriokonserwacji komórek jajowych w miejsce kriokonserwacji zarodków. Wnioskodawca zaplanował możliwość skorzystania przez uczestników programu z indywidualnego poradnictwa psychologicznego, ale na ich koszt. Projekt zakłada udział w tej części programu przez 8 par rocznie.

W ramach poszczególnych konsultacji uczestnikom programu zostanie zapewniona edukacja zdrowotna.

Monitorowanie programu będzie obejmować m.in. liczbę kriokonserwowanych zarodków.

Koszt całkowity programu oszacowano na 499 600 zł (99 920 zł rocznie). Jednostkowy koszt diagnostyki w ramach pierwszej części programu oszacowano na kwotę 1 830 zł.

Uwagi Rady Przejrzystości:

- poprawy wymaga sposób określenia celów szczegółowych programu oraz mierników jego efektywności;
- w ocenie Rady program powinien przewidywać pokrycie kosztu indywidualnej konsultacji z psychologiem;
- zdaniem Rady program powinien zawierać wzór ankiety satysfakcji skierowanej do jego uczestników;
- zgodnie z nowelizacją z dnia 29 listopada 2023 r. ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, z dniem 1 czerwca 2024 r. ma rozpocząć się realizacja ogólnopolskiego programu polityki zdrowotnej leczenia niepłodności, obejmującego procedury medycznie wspomaganą prokreację, w tym zapłodnienie pozaustrojowe. Obecnie kształt programu ogólnopolskiego nie jest znany. Zważywszy, że zgodnie z art. 48 ust. 4 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 dokonać oceny celowości kontynuowania ocenianego programu i rozważyć zakończenie jego realizacji, stosownie do brzmienia art. 48ab ust. 4 ustawy.

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.431.97.2023 „Program polityki zdrowotnej w zakresie diagnozowania i leczenia niepłodności dla mieszkańców miasta Zgorzelec na lata 2024-2028” realizowany przez: miasto Zgorzelec, Warszawa, luty 2024 oraz Aneksu „Programy z zakresu diagnostyki i leczenia niepłodności – wspólne podstawy oceny” z czerwca 2022 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 19/2024 z dnia 12 lutego 2024 roku
o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej w zakresie
rozszerzenia dostępności nowoczesnych instrumentalnych metod
diagnostyki i rehabilitacji dzieci z mózgowym porażeniem dziecięcym
na terenie województwa mazowieckiego”

Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej w zakresie rozszerzenia dostępności nowoczesnych instrumentalnych metod diagnostyki i rehabilitacji dzieci z mózgowym porażeniem dziecięcym na terenie województwa mazowieckiego.”

Uzasadnienie

Niepełnosprawność jest problemem ogólnoswiatowym, stanowiącym cel szczególnie promowanych działań WHO i Komisji Europejskiej. Według ostatnich szacunków, około 15% ludności świata żyje z jakąś formą niepełnosprawności, z czego 2-4% doświadcza poważnych trudności w funkcjonowaniu.

Cel główny programu: „zwiększenie w latach 2024-2026 o 14% dostępności do nowoczesnych metod diagnostyki i rehabilitacji zaburzeń funkcji chodu u dzieci z MPD mieszkających w województwie mazowieckim poprzez udzielenie świadczeń w ramach programu”, nie odnosi się do efektu zdrowotnego, a jego realizacja nie musi przełożyć się na poprawę sytuacji zdrowotnej pacjentów. W programie nie powołano się na wyniki poprzedniego programu i nie jest wiadome, czy i jakie efekty kliniczne osiągnięto w poprzednio realizowanym projekcie.

Populacja, to dzieci oraz młodzież w wieku od 2 do 18 r.ż. z rozpoznaniem mózgowego porażenia dziecięcego (MPD), zamieszkujące na terenie województwa mazowieckiego (345 osób, w czasie trwania 3-letniego PPZ).

Interwencje zaplanowane w PPZ, to:

- działania informacyjno-promocyjne;*
- badania początkowe (realizowane po zakwalifikowaniu uczestnika do programu): np. Time Up&Go Test (TUG), 10 m test chodu (TMWT), 6-minutowy test chodu (6MWT), ocena funkcjonalna Functional Mobility*

Scale (FMS 5/50/500), Skala Gross Motor Function Measure w części D (stanie) i E (chodzenie, bieganie i skakanie) (GMFM: D,E);

- *cykl terapeutyczny przy zastosowaniu zrobotyzowanych systemów do rehabilitacji chodu (10 sesji);*
- *badania końcowe.*

Czas trwania projektu to lata 2024-2026, maksymalny koszt udziału w programie jednego uczestnika z grupy docelowej skierowanego na cykl terapeutyczny zaplanowano na 5 280 zł. Planowane koszty całkowite: 10 945 600 zł (3 643 200 zł rocznie). Budżet zawiera nieścisłości dot. kosztu całkowitego. Koszt roczny powinien wynosić 1 214 400 zł., tj. 3 643 200 zł w trakcie trwania 3 letniego programu. Natomiast wnioskodawca oszacował koszt roczny na kwotę 3 643 200 zł.

Zaleca się, aby pacjenci otrzymywali tyle świadczeń terapeutycznych, ile „potrzebują” i są w stanie tolerować, aby przystosować, odzyskać i/lub wrócić do optymalnego osiągnięcia niezależności funkcjonowania (NSF 2017, VHA-DoD 2010).

Rekomenduje się, aby realizacja celów powinna być mierzona na początku i na końcu interwencji (Panel ekspertów – Australia 2021), co zostało ujęte w PPZ.

Panel ekspertów zaleca aby dopiero dzieci w wieku 5 lat mogły uczestniczyć w intensywnych programach treningowych na bieżni. Wynika to z umiejętności koncentracji tych dzieci na treningach obejmujących więcej niż 1 sesję (Panel ekspertów – Szwajcaria, Niemcy 2015). W projekcie przewidziano populację poniżej 5 r.ż.

Rekomenduje się, aby indywidualne dopasowanie do egzoszkieletu musi być wykonane z największą starannością w odniesieniu do aktualnego zakresu ruchu i osi nóg pacjenta (Panel ekspertów – Szwajcaria, Niemcy 2015). Wnioskodawca nie wskazał jakiego rodzaju szkielety znajdą zastosowanie w PPZ. Na brak wskazania rodzaju szkieletu zwracano uwagę w poprzedniej opinii Prezesa Agencji, w opiniowanym wniosku nie odniesiono się do uwag prezesa AOTMiT.

W badaniach wykazano, że trening chodu wspomagany robotami (RAGT) może klinicznie poprawić parametry chodu i funkcjonalność u osób z porażeniem mózgowym w perspektywie długoterminowej. Wyniki wykazały, że 6MWT był jedynym wynikiem ze statystycznie istotnymi wynikami w krótkim okresie oraz że RAGT ma duży wpływ kliniczny na zwiększenie prędkości chodu i wymiarów GMFM w części D (stanie) i E (chodzenie, bieganie i skakanie) w krótkim okresie, a także poprawę wszystkich wyników, które zostały utrzymane w perspektywie długoterminowej [Volpini 2021]. Stosowanie systemów robotycznych można uznać za skuteczne uzupełnienie konwencjonalnych terapii fizycznych [Llamas-Ramos 2022]. Trening chodzenia ze wspomaganie mechanicznym

prawdopodobnie skutkuje niewielkim wzrostem prędkości chodzenia (z lub bez wsparcia masy ciała) i może poprawić funkcje motoryczne (ze wsparciem masy ciała) [Chiu 2020].

Istnieją wyniki badań sugerujące, że trening chodu wspomagany robotem (RAGT) jest skuteczny u dzieci i młodzieży z mózgowym porażeniem dziecięcym. Nie wykazano jednak znaczących różnic między RAGT, RAGT w połączeniu z fizykoterapią i fizykoterapią w celu poprawy badanych wyników, dlatego nie można wydać zaleceń klinicznych dotyczących tego, która z tych opcji leczenia powinna być preferowana [Olmos-Gómez 2021].

Uwagi Rady

- *z uwagi na fakt, że stosowane interwencje oparte są na słabych dowodach naukowych, Rada uważa za konieczne przedstawienie raportu dotychczasowych wyników realizacji projektu;*
- *konieczne jest skorygowanie nieprawidłowego budżetu;*
- *Rada uważa za konieczne wskazanie konkretnych technologii, które będą stosowane w programie w poszczególnych grupach wiekowych.*

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.431.98.2023 „Program polityki zdrowotnej w zakresie rozszerzenia dostępności nowoczesnych instrumentalnych metod diagnostyki i rehabilitacji dzieci z mózgowym porażeniem dziecięcym na terenie województwa mazowieckiego” realizowany przez: Województwo Mazowieckie, Warszawa, luty 2024 oraz Aneksu „Programy z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży – wspólne podstawy oceny” z sierpnia 2016 r. i Raportów nr OT.441.57.2017 dot. programu polityki zdrowotnej pn. „Rozszerzenie dostępności nowoczesnych instrumentalnych metod diagnostyki i rehabilitacji dzieci z mózgowym porażeniem dziecięcym na terenie Województwa Mazowieckiego”, nr: OT.431.24.2023 dot. programu polityki zdrowotnej pn. „Rozszerzenie dostępności robotycznie wspomaganą diagnostyką funkcjonalną i rehabilitacji dzieci i młodych dorosłych z mózgowym porażeniem dziecięcym i innymi zespołami porażeniami na terenie Województwa Wielkopolskiego”.