



BP.401.59.2024.PP

**Protokół z posiedzenia
Rady Przejrzystości 9/2025
w dniu 3 marca 2025 roku
w formie wideokonferencji**

Maciej Karaszewski otworzył posiedzenie o godzinie 10:00.

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

1. Artur Bachta
2. Andrzej Dąbrowski
3. Paweł Grzesiewski
4. Roman Junik
5. Maciej Karaszewski
6. Elżbieta Lanc
7. Ewa Obuchowicz
8. Zbigniew Siudak
9. Aleksandra Zasada

Członkowie Rady nieobecni na posiedzeniu:

1. Małgorzata Bała

Proponowany porządek obrad:

1. Omówienie powiązań branżowych i ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Fasentra (benralizumabum) w ramach programu lekowego B.75. „Leczenie pacjentów z układowymi zapaleniami naczyń (ICD-10: M30.1, M31.3, M31.5, M31.6, M31.7, M31.8)”.
3. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców gminy Ożarów na lata 2025 – 2026”.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie kwalifikacji świadczenia "Moje zdrowie – bilans zdrowia osoby dorosłej" jako świadczenia gwarantowanego.
5. Przygotowanie stanowiska w sprawie kwalifikacji świadczenia „Wprowadzenie testowania przesiewowego anty-HIV testem przesiewowym IV generacji" jako świadczenia gwarantowanego.
6. Przygotowanie stanowiska w sprawie importu docelowego środka spożywczo specjalnego przeznaczenia żywieniowego MMA/PA Anamix Infant, proszek doustny; MMA/PA Anamix Junior, proszek doustny; MMA/PA gel, proszek doustny;

MMA/PA Express 15, proszek doustny; MMA/PA Cooler 15, płyn doustny we wskazaniach: acyduria metylomalonowa, acyduria propionowa.

7. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program polityki zdrowotnej szczepień przeciwko krztuścowi w Małopolsce”.
8. Zakończenie posiedzenia.

Ad 1. Maciej Karaszewski zgłosił konflikt interesów odnoszący się do świadczeń gwarantowanych dot. testowania przesiewowego anty-HIV oraz bilansu zdrowia osoby dorosłej, w związku z czym Rada podjęła decyzję, że podczas głosowania w ww. zakresach jego głos będzie liczony jako wstrzymujący. Żaden z pozostałych członków Rady nie zadeklarował konfliktu interesów.

Rada jednogłośnie (9 głosów „za”) przyjęła proponowany porządek obrad.

Ad 2. Analityk Agencji przedstawił najważniejsze informacje z raportu dot. oceny leku Fasentra (benralizumabum).

Projekt stanowiska Rady przedstawił Zbigniew Siudak.

W wyniku dyskusji, w której głos zabrali: Ewa Obuchowicz, Maciej Karaszewski, Zbigniew Siudak i Andrzej Dąbrowski, Rada doprecyzowała zapisy uchwały.

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

Ad 3. Analityk Agencji omówił założenia programu polityki zdrowotnej gm. Ożarów z zakresu rehabilitacji.

Projekt opinii Rady przedstawiła Elżbieta Lanc.

Głos w dyskusji Rady zabrali: Maciej Karaszewski, Andrzej Dąbrowski i Elżbieta Lanc.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 2 do protokołu).

Rada postanowiła zmienić kolejność omawiania tematów i rozpocząć pkt. 5. przyjętego porządku obrad (świadczenie dot. testowania przesiewowego anty-HIV testem przesiewowym IV generacji).

Ad 5. Analityk Agencji podsumował informacje odnoszące się do świadczenia dot. testowania przesiewowego anty-HIV.

Posiedzenie opuścił Zbigniew Siudak.

Projekt stanowiska Rady przedstawiła Aleksandra Zasada, a w doprecyzowaniu jego treści udział wzięli: Maciej Karaszewski, Aleksandra Zasada i Andrzej Dąbrowski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 7 głosami „za”, przy 1 głosie „wstrzymującym”, z uwagi na konflikt interesów (8 osób obecnych), uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 3 do protokołu).

Rada postanowiła procedować pozostałe tematy zgodnie z kolejnością ustaloną w przyjętym porządku obrad – pkt. 4., pkt. 6., pkt. 7. i pkt. 8.

Ad 4. Analityk Agencji przedstawił kluczowe kwestie o świadczeniu dot. bilansu zdrowia osoby dorosłej.

We wstępnej dyskusji udział wzięli: Ewa Obuchowicz, Maciej Karaszewski i Andrzej Dąbrowski.

Projekt stanowiska Rady przedstawił Andrzej Dąbrowski. Rada doprecyzowała treść stanowiska, w czym uczestniczyli: Maciej Karaszewski, Andrzej Dąbrowski i Ewa Obuchowicz.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 7 głosami „za”, przy 1 głosie „wstrzymującym”, z uwagi na konflikt interesów (8 osób obecnych), uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 4 do protokołu).

Ad 6. Analityk Agencji przedstawił dane z raportu odnoszącego się do środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego MMA/PA Anamix Infant, MMA/PA Anamix Junior, MMA/PA gel, MMA/PA Express 15 i MMA/PA Cooler 15 we wskazaniach: acyduria metylomalonowa, acyduria propionowa.

We wstępnej dyskusji udział wzięli Maciej Karaszewski i Roman Junik.

Projekt stanowiska Rady przedstawił Roman Junik, a doprecyzował Maciej Karaszewski.

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

Ad 7. Analityk Agencji omówił projekt programu polityki zdrowotnej dot. szczepień przeciwko krztuścowi w Małopolsce.

Projekt opinii Rady przedstawił Paweł Grzesiewski.

Wobec braku głosów w dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (8 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 6 do protokołu).

Ad 8. Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 14:50.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 29/2025 z dnia 3 marca 2025 roku
w sprawie oceny leku Fasentra (benralizumab) w ramach programu
lekowego „Leczenie pacjentów z układowymi zapaleniami naczyń
(ICD-10: M31.3, M31.5, M31.6, M31.7, M31.8)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktów leczniczych:

- Fasentra (benralizumabum), roztwór do wstrzykiwań, 30 mg/ml, 1 amp.-strzyk., 1 ml, GTIN: 05000456031516;
- Fasentra (benralizumabum), roztwór do wstrzykiwań, 30 mg/ml, 1 wstrzykiwacz, 1 ml, GTIN: 05000456059213,

w ramach programu lekowego „Leczenie pacjentów z układowymi zapaleniami naczyń (ICD-10: M31.3, M31.5, M31.6, M31.7, M31.8)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Eozynofilowa ziarniniakowatość z zapaleniem naczyń (ang. eosinophilic granulomatosis with polyangiitis, EGPA,) to martwicze zapalenie ziarniniakowe z obfitym naciekiem eozynofilowym w różnych tkankach i narządach, często zajmujące drogi oddechowe oraz martwicze zapalenie głównie małych i średnich naczyń z astmą i eozynofilią. Często występują polipy nosa oraz ziarniniakowe lub nieziarniniakowe zapalenie poza naczyniami krwionośnymi, takie jak nieziarniniakowe eozynofilowe zapalenie płuc, mięśnia sercowego i przewodu pokarmowego. W Europie zapadalność ocenia się na 0,3-3,7/mln osób, a chorobowość na 10,7-14/mln mieszkańców. Wydaje się, że choroba jest zbyt rzadko rozpoznawana z powodu restrykcyjnych kryteriów patomorfologicznych. Szczególną uwagę powinno się zwrócić na chorych na astmę, wśród których EGPA występuje dużo częściej (34-67/mln) niż w pozostałej populacji. Choroba może ujawnić się w każdym wieku ale w analizowanych grupach średnia wynosi 48 lat. Nie stwierdza się dominacji płci. Rokowanie zależy od obecności niekorzystnych czynników, do których zalicza się wiek >65 lat, zajęcie układu sercowo-naczyniowego, zajęcie nerek z niewydolnością nerek, zajęcie układu nerwowego i pokarmowego. Śmiertelność w ciągu 5 lat wśród chorych na EGPA bez

w/w obciążeń wynosi 9%, z 1 czynnikiem – 20%, a z 2 i więcej – 40%. Generalnie 5 lat przeżywa 89% chorych na EGPA, przy czym dotyczy to 95% chorych z ANCA(+) i 88% chorych z ANCA(-). Pięcioletni czas do nawrotu wynosi dla całej grupy 65%, przy czym dotyczy to 58% chorych z ANCA(+) i 67% chorych z ANCA(-) Leczenie indukujące remisję postaci ciężkiej (zagrożającej życiu lub czynności narządów) – GKS w pulsach i.v. lub p.o. w dużej, możliwie szybko zmniejszanej dawce, zwykle w połączeniu z cyklofosfamidem, ew. rytuksymabem.

W leczeniu w postaci nieciężkiej stosuje się GKS p.o., w postaci nieciężkiej lub oporności na leczenie, w połączeniu z mepolizumabem (przeciwciało przeciwko IL-5) w dawce 300 mg s.c. co miesiąc. Można rozważyć także GKS w skojarzeniu z metotreksatem, azatiopryną albo mykofenolanem mofetylu (ew. rytuksymabem albo w monoterapii). U chorych z chorobą rozpoznaną podczas przyjmowania leków przeciwleukotrienowych sugeruje się kontynuowanie leczenia przeciwleukotrienowego. W leczeniu podtrzymującym remisję (≥ 1 rok, u chorych z nawrotami dłużej, nawet przewlekłe) należy rozważyć stosowanie metotreksatu, azatiopryny, mepolizumabu (może być preferowany u chorych z nawrotami niezagrażającymi czynności narządów), rytuksymabu albo mykofenolanu mofetylu. W leczeniu ciężkiego nawrotu należy rozważyć zastosowanie rytuksymabu (zarówno u chorych, u których remisję uzyskano przy użyciu rytuksymabu, jak i chorych leczonych wcześniej cyklofosfamidem).

Wnioskowany o refundację benralizumab jest humanizowanym, defukozylowanym przeciwciałem monoklonalnym (IgG1, kappa) skierowanym przeciwko eozynofilom. Wiąże się on swoiście z podjednostką alfa ludzkiego receptora dla interleukiny-5 (IL-5R α). Ekspresja receptora dla IL-5 ma miejsce na powierzchni eozynofilów i bazofilów. Brak fukozy w domenie Fc benralizumabu skutkuje wysokim powinowactwem do receptorów Fc γ RIII na immunologicznych komórkach efektorowych, np. komórkach NK (ang. natural killer). Prowadzi to do apoptozy eozynofilów i bazofilów w mechanizmie wzmożonej cytotoksyczności komórkowej zależnej od przeciwciał (ang. antibody-dependent cell-mediated cytotoxicity, ADCC), co łagodzi zapalenie eozynofilowe.

Dowody naukowe

Przedłożone badanie MANDARA dowodzi, iż benralizumab jest nie gorszy niż mepolizumab w populacji dorosłych pacjentów z EGPA.

W przypadku wnioskowanej populacji pacjentów zdefiniowanej zgodnie z uzgodnionym programem lekowym, tj. z nawracającym lub opornym na leczenie EGPA pomimo stosowania leczenia podtrzymującego i/lub leczenia indukującego remisję, odnalezione wytyczne EULAR 2024 i ACR 2021 nie odnoszą się w rekomendacjach do terapii za pomocą benralizumabu. Należy zwrócić uwagę, iż odnalezione wytyczne zostały opublikowane przed datą rejestracji leku Fasentra w EGPA (EMA: 24.10.2024 r.). W dokumencie Emmi 2023 wskazano,

iż skuteczność innych inhibitorów IL-5 lub receptora IL-5 (takich jak benralizumab i reslizumab) została opublikowana w opisach przypadków i seriach przypadków; można zatem rozważyć ich stosowanie u pacjentów z chorobą oporną na leczenie mepolizumabem.

W wytycznych ACR 2021 podkreślono, że mepolizumab jest zalecany jako lek pierwszego wyboru w leczeniu nieciężkiej, nawracającej choroby u pacjentów otrzymujących metotreksat, azatioprynę lub mykofenolan mofetylu, zamiast zmiany na alternatywny środek z tej grupy. Dodatkowo, w przypadku pacjentów z nieciężkim, nawracającym EGPA, którzy otrzymują monoterapię glikokortykosteroidami w niskich dawkach, wskazuje się, że rozpoczęcie leczenia mepolizumabem byłoby lepsze niż dodanie metotreksatu, azatiopryny lub mykofenolanu mofetylu. W wytycznych EULAR 2024 w celu indukcji remisji u pacjentów z nawracającym lub opornym na leczenie EGPA bez aktywnej choroby zagrażającej narządom lub życiu (definicja nieciężkiej choroby zgodnie z wytycznymi ACR 2021) również zaleca się stosowanie mepolizumabu. Wytyczne Emmi 2023 dostarczają zbieżnych wniosków – u pacjentów z nawrotami i chorobą oporną o łagodnym przebiegu glikokortykosteroidy w połączeniu z mepolizumabem są często skuteczne w utrzymaniu remisji.

W przypadku leczenia nawrotu choroby z ciężkimi objawami nie wymieniono wśród zalecanych terapii mepolizumabu, co jest także zgodne z treścią wytycznych EULAR 2024, gdzie w nawracającym EGPA z objawami zagrażającymi narządom lub zagrażającymi życiu (definicja ciężkiej choroby zgodnie z wytycznymi ACR 2021) nie odniesiono się do mepolizumabu. W tej grupie pacjentów w celu przywrócenia remisji wytyczne rekomendują leczenie cyklofosfamidem lub rytuksymabem w skojarzeniu z dużymi dawkami glikokortykosteroidów (EULAR 2024) lub rytuksymabem zamiast przechodzenia na cyklofosfamid (ACR 2021). W przypadku ciężkich nawrotów ogólnoustrojowych wytyczne Emmi 2023, podobnie jak reszta wytycznych, zalecają stosowanie rytuksymabu lub cyklofosfamidu z glikokortykosteroidami.

Należy jednocześnie podkreślić, że zalecenia dot. leczenia EGPA mają warunkowy/słaby charakter, częściowo ze względu na niską jakość dowodów naukowych, gdzie w wytycznych ACR 2021 wskazano, że w EGPA przeprowadzono dotychczas niewiele randomizowanych badań kontrolowanych.

Problem ekonomiczny

Przeprowadzona przez Wnioskodawcę analiza wpływu na budżet nie odpowiada w pełni obecnej sytuacji refundacyjnej produktów leczniczych stosowanych w EGPA w Polsce. W analizie przyjęto, iż BEN będzie przejmował wyłącznie udziały MEP, przy jednoczesnym braku przejmowania udziałów leczenia standardowego. Należy wskazać, iż obecnie MEP nie stanowi jedynej technologii opcjonalnej dla wnioskowanej interwencji.

Ponadto Wnioskodawca nieprawidłowo zdefiniował populację docelową. Zastosowano zapisy projektu programu lekowego Wnioskodawcy, gdzie wartość graniczną wskaźnika BVAS przyjęto na poziomie „BVAS > 0”, zamiast prawidłowego uwzględnienia zapisów uzgodnionego programu lekowego, gdzie wartość graniczną BVAS przyjęto na poziomie „BVAS ≥ 2”.

Podsumowując model AWB Wnioskodawcy nie przedstawia w pełni konsekwencji finansowych ewentualnej pozytywnej decyzji refundacyjnej dotyczącej stosowania BEN w populacji pacjentów cierpiących na EGPA w Polsce.

Główne argumenty decyzji

- *Brak zaleceń w wytycznych klinicznych postępowania u chorych z EGPA dotyczących stosowania benralizumabu;*
- *Brak aktualnych pozytywnych rekomendacji w krajach UE;*
- *Brak badań randomizowanych porównujących benralizumab do standards of care;*
- *Brak jest danych wysokiej wiarygodności dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa stosowania benralizumabu po nieskuteczności mepolizumabu;*
- *Niespójne i niekompletne założenia dotyczące realnej oceny skutków finansowych refundacji terapii przedstawione przez Wnioskodawcę.*

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 930 z późn. zm.), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OT.423.1.2.2025 „Wniosek o objęciu refundacją leku Fasentra (benralizumab) w ramach programu lekowego »Leczenie pacjentów z układowymi zapaleniami naczyń (ICD-10: M31.3, M31.5, M31.6, M31.7, M31.8)«”; data ukończenia: 20 lutego 2025 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 36/2025 z dnia 3 marca 2025 roku
o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej w zakresie
rehabilitacji leczniczej mieszkańców gminy Ożarów na lata 2025 -
2026”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców gminy Ożarów na lata 2025 – 2026”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny dotyczy PPZ w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców gminy Ożarów, woj. świętokrzyskie z rozpoznaniem choroby przewlekłej lub zapalnej układu ruchu, urazu lub choroby układu nerwowego, posiadający skierowanie od lekarza POZ lub lekarza specjalisty /ok.175 osób rocznie co stanowi ok. 30% populacji docelowej.

Program będzie realizowany w latach 2025-2026. Budżet programu: koszty całkowite – 668 014 zł, w tym koszt indywidualnego planu fizjoterapeutycznego – 1649,20 zł w całości finansowany przez gminę Ożarów.

Kompleksowe działania rehabilitacyjne będą obejmować:

- ✓ *badanie fizjoterapeutyczne kwalifikacyjne,*
- ✓ *indywidualny plan rehabilitacyjny obejmujący cykl zabiegów fizjoterapeutycznych,*
- ✓ *wizytę podsumowującą,*
- ✓ *działania edukacyjne.*

AOTMiT opiniowała podobny program gminy Ożarów. Prezes Agencji wydał opinię negatywną nr 78/2023 z dnia 1 grudnia 2023 r. W ocenianym obecnie programie nie uwzględniono tylko jednej uwagi. Nie uzupełniono ankiety satysfakcji o pytania odnoszące się do jakości działań edukacyjnych.

Eksperci kliniczni są zgodni, że istnieje zasadność finansowania PPZ z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży. Podkreślają, że optymalny okres interwencji waha się od 6 tygodni do 2-5 lat. Dowody kliniczne wskazują, że leczenie

rehabilitacyjne poszczególnych rodzajów bólu jest korzystne i skuteczne, a stasowanie różnych form fizjoterapii pomaga w złagodzeniu bólu. Jeśli edukację stosuje się łącznie z fizjoterapią, wtedy przynosi korzyści. Eksperti wskazują na zasadność działań edukacyjnych w ramach PPZ. Wszystkie zaplanowane przez wnioskodawcę interwencje fizjoterapeutyczne i kinezyterapeutyczne znajdują się w wykazie świadczeń gwarantowanych. Na terenie gminy umowę z NFZ na realizację świadczeń z zakresu rehabilitacji leczniczej posiada jeden świadczeniodawca.

Wnioskodawca założył uzyskanie poprawy stanu funkcjonalnego w każdym z obszarów, dla których w wykonanych testach wykryto zaburzenia funkcjonalne u co najmniej 40% uczestników programu, poprzez kompleksowe działania rehabilitacyjne. Wskazano 2 cele szczegółowe:

- 1. podniesienie poziomu wiedzy w zakresie profilaktyki wtórnej chorób układu ruchu wśród 30% populacji docelowej programu,*
- 2. zmniejszenie dolegliwości bólowych u 50% uczestników programu.*

Uwagi Rady:

- wskazanie uzasadnienia do przyjętych wartości docelowych w celu głównym i szczegółowych,*
- uściślenia w zakresie włączenia do programu,*
- dołączenie przykładowego testu wiedzy,*
- poprawne przedstawienie wskaźników do oceny zgłaszalności.*

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.431.13.2025 „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców gminy Ożarów na lata 2025-2026” realizowany przez: Gminę Ożarów; data ukończenia luty 2025 oraz Aneksu o raportów szczegółowych: „Programy z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży – wspólne podstawy oceny” z marca 2024 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 30/2025 z dnia 3 marca 2025 roku
w sprawie zasadności kwalifikacji świadczenia opieki zdrowotnej
„Wprowadzenie testowania przesiewowego anty-HIV testem
przesiewowym IV generacji” jako świadczenia gwarantowanego

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „Wprowadzenie testowania przesiewowego anty-HIV testem przesiewowym IV generacji” jako świadczenia gwarantowanego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Zgodnie z Kartą Świadczenia Opieki Zdrowotnej (KŚOZ), świadczenie opieki zdrowotnej jakim jest testowanie przesiewowym testem w kierunku HIV (przeciwciała przeciwko anty-HIV i antygen p24) jest procedurą testowania laboratoryjnego polegającą na oznaczeniu z jednej próbki krwi (najczęściej surowicy lub osocza – w zależności od stosowanej technologii laboratoryjnej) zarówno przeciwciał anty-HIV jak antygeny p24. Warunkiem prawidłowego wyniku badania jest zachowanie okna diagnostycznego (odpowiedniego czasu od narażenia/zakażenia do wykonania testu), który dla testów przesiewowych wynosi 4 tygodnie (wyjątkiem jest występowanie objawów ostrego zakażenia retrowirusowego, w przypadku którego test należy wykonać bezzwłocznie). Reaktywny (dodatni) test przesiewowy wymaga potwierdzenia testem molekularnym (NAAT, ang. nuclear acid amplification testing) lub testem immunoblotingu lub western-blottingu, co potwierdza rozpoznanie zakażenia HIV.

Zgodnie z KŚOZ testowanie powinno być wykonywane u osób powyżej 15 r.ż.:

- 1. u których stwierdzono następujące schorzenia/stany kliniczne lub odchylenia laboratoryjne: nawracająca drożdżycza śluzówek lub tchawicy lub oskrzeli, półpasiec, zakażenia przenoszone drogą płciową, gorączka o niejasnej etiologii, utrata masy ciała o niejasnej etiologii, trombocytopenia i/lub leukopenia (oraz limfopenia) o niejasnej etiologii, biegunka przewlekła, zapalenie jelit o niejasnej etiologii, nawracające bakteryjne zapalenie płuc, ciężkie zakażenia bakteryjne, limfadenopatie,*

zapalenie ślinianek niejasnego pochodzenia, zespół wyniszczenia niejasnego pochodzenia, inwazyjny i nieinwazyjny rak szyjki macicy, dysplazja szyjki macicy, dysplazja nabłonkowa odbytu, zakażenie HPV, mykobakteriozy płucne lub rozsiane, śródmiąższowe zapalenia płuc, w tym o etiologii COVID-19, zapalenie płuc o niejasnej etiologii, aspergiloza, łojotokowe zapalenie skóry, mięsak Kaposiego, nowotwory skóry, neurotoksoplazmoza, encefalopatia o niejasnej etiologii, postępujące otępienie, polineuropatia, zespół Guillain-Barre, poprzeczne zapalenie rdzenia kręgowego, zespół monukleozopodobny. gruźlica, inne mykobakteriozy, wirusowe zapalenie wątroby HCV, HBV, HAV, chłoniaki nieziarnicze, rak płuc, nasieniak (seminoma), ziarnica złośliwa, choroba Castelmanna, limfopatie niejasnego pochodzenia, inne choroby z listy chorób wskaźnikowych AIDS, zakażenie cytomegalowirusowe, zapalenie błony naczyniowej i siatkówki, retinopatie niejasnego pochodzenia, nowotwory okolicy głowy i szyi, zmiany dysplastyczne błony śluzowej jamy ustnej, opryszczkowe zapalenie jamy ustnej, nawracające, leukoplakia włochata, nefropatie kłębuszkowe, brodawczak pęcherza moczowego, zaburzenia endokrynologiczne o niejasnej etiologii.

- 2. Test w kierunku HIV powinien być wykonany przynajmniej jednokrotnie u każdej osoby włączanej do opieki w POZ, która migrowała z krajów o średniej i wysokiej częstości występowania zakażenia HIV (Afryka subsaharyjska, kraje Ameryki Południowej, Ukraina, Białoruś, Rosja i inne zgodnie z danymi WHO).*
- 3. W wywiadzie występują następujące czynniki związane z wyższym ryzykiem zakażenia: kontakty seksualne bez prezerwatywy z osobami o nieznanym statusie serologicznym lub z osobami żyjącymi z HIV nieleczonymi antyretrowirusowo lub leczonymi nieskutecznie, stosowanie profilaktyki poekspozycyjnej HIV po kontakcie seksualnym, kontakty seksualne pod wpływem substancji psychoaktywnych, używanie narkotyków dożylnie lub chemsex, świadczenie usług seksualne, prośba o wdrożenie profilaktyki przedekspozycyjnej HIV.*
- 4. Test anty-HIV należy wykonać również w przypadku ciąży, jeśli testowanie nie zostało przeprowadzone (badanie zalecane również u partnera ciężarnej) oraz u wszystkich noworodków urodzone przez matki, które nie poddały się badaniu w kierunku HIV przed ciążą lub podczas jej trwania.*

Zgodnie z informacjami zawartymi w KŚOZ, świadczenie ma być finansowane z budżetu powierzonego w podstawowej opiece zdrowotnej.

Dowody naukowe

Analiza kliniczna przeprowadzona na podstawie dwóch badań dla testu Elecys (retrospektywne Yang 2022, przekrojowe Liu 2025), oraz dwóch badań oceniających testy różnych producentów (retrospektywne Pitasi 2020, retrospektywno-prospektywne Guiraud 2024) wykazała następującą trafność diagnostyczną testów IV generacji vs Western Blot HIV / testy molekularne (NAAT): czułość 31-54% (Pitasi 2020) w przypadku wczesnego zakażenia; czułość 99,4-100% (Pitasi 2020) w przypadku przewlekłego zakażenia; swoistość 98,3% (Pitasi 2020), 99,91% (Liu 2025) 99,94% (Yang 2022);

PPV - 85,2% (95%CI: 82,3,-87,8) (Liu 2025). Trafność diagnostyczna testów IV generacji vs Western Blot HIV / test immunoenzymatyczna wynosi: czułość 100% w przypadku przewlekłego zakażenia HIV-1 i HIV-2 (Guiraud 2024) oraz swoistość 99,86% (Guiraud 2024).

Do analizy dodatkowej włączono dwa badania retrospektywne, które odnoszą się do trafności diagnostycznej testów w określonych subpopulacjach tj. pacjentów onkologicznych (Chiu 2024), oraz kobiet powyżej 18 r.ż. (Guller 2022). W badaniu Chu 2024 fałszywie reaktywne wyniki testu występowały u prawie jednej trzeciej pacjentów z nowotworem. Retrospektywna analiza Guller 2022, wykazała, fałszywie dodatni wynik był istotnie wyższy u kobiet w ciąży w porównaniu do kobiet niebędących w ciąży ($p=0,033$).

W wyniku prac analitycznych nie odnaleziono badań, które odnosiły się do potencjalnych działań niepożądanych związanych z wykorzystaniem testów w kierunku HIV.

Odnaleziono siedem rekomendacji klinicznych/wytycznych towarzystw naukowych (PTN AIDS 2024, PTDL 2024, WHO 2024, CDC 2021, BHIVA/ BASHH/ BIA 2020, USPSTF 2019 oraz CDC 2014 wraz z aktualizacjami) odnoszących się do metod i schematów zastosowania testów przesiewowych w kierunku HIV. Odnalezione wytyczne wskazują, że jednym z miejsc wykonywania testu na obecność HIV może być placówka podstawowej opieki zdrowotnej (PTN AIDS 2024, WHO 2024). W zaleceniach występują rozbieżności w zakresie populacji, która powinna być objęta badaniami przesiewowymi. Wytyczne USPSTF 2019 oraz CDC 2021 zalecają wykonanie testu przesiewowego wszystkim osobom od 15 do 65 roku lat; PTN AIDS 2024 osobom powyżej 15 r.ż. w przypadku stwierdzenia w wywiadzie ryzyka zakażenia HIV. Większość wytycznych zaleca wykonanie testów przesiewowych osobom z grup zwiększonego ryzyka zakażenia HIV m in. MSM (ang. men who have sex with men), osoby przebywające w zakładach zamkniętych, zażywające dożylnie narkotyki, osoby transpłciowe, partnerzy osób ze zdiagnozowanym zakażeniem HIV) (PTN AIDS 2024, CDC 2021,

WHO 2024, BHIVA/ BASHH/ BIA 2020, USPSTF 2019), a także kobietom w ciąży lub bezpośrednio po porodzie (PTN AIDS 2024, CDC 2021, WHO 2024, USPSTF 2019). Wytyczne zalecają wykorzystanie testu IV generacji jako testu pierwszego rzutu (PTN AIDS 2024, PTDL 2024, CDC 2021, CDC 2014, BHIVA/ BASHH/ BIA 2020, USPSTF 2019) oprócz wytycznych WHO 2024, które nie rekomendują konkretnych zaleceń w zakresie stosowanych testów, natomiast wskazują na potrzebę oceny wpływu na system opieki zdrowotnej w krajach rozważających wprowadzenie testów IV generacji.

Odnaleziono informacje dotyczące badań w kierunku HIV dla ośmiu krajów (Kanada, Francja, Królestwo Niderlandów, Niemcy, Wielka Brytania, Czechy, Norwegia, Dania). W 6 z nich szybkie testy na obecność HIV wykonywane są w ramach podstawowej opieki zdrowotnej/lekarza (Wielka Brytania, Królestwo Niderlandów, Niemcy, Dania, Norwegia, Czechy).

Problem ekonomiczny

W przeglądzie systematycznym analiz ekonomicznych Bert 2018 odnoszącym się do efektywności kosztowej badań przesiewowych w kierunku HIV w krajach o wysokim dochodzie wskazano, że najbardziej opłacalną strategią jest połączenie testu wykonywanego raz w życiu w populacji ogólnej z corocznym badaniem przesiewowym w grupach wysokiego ryzyka (osoby zażywające narkotyki drogą dożylną i MSM). Wdrażania badań przesiewowych w kierunku HIV, było opłacalne nawet przy większej częstotliwości testowania i w populacji o niższym współczynniku chorobowości na HIV niż zalecana przez CDC. Do analizy głównej opracowania włączono dwie analizy efektywności kosztów (ang. cost-effectiveness analysis, CEA) dla Stanów Zjednoczonych: Phillips 2000 i Walensky 2005. Analiza Phillips 2000 wykazała, że rutynowe badania przesiewowe w kierunku HIV przeprowadzane za pomocą testów w ramach podstawowej opieki zdrowotnej (PCP, ang. primary care practice) były najbardziej opłacalnym podejściem do identyfikacji nowych zakażeń HIV. Określanie historii ryzyka i proponowanie testów pacjentom z grupy wysokiego ryzyka okazało się bardziej kosztowne i mniej skuteczne. W analizie Walensky 2005 analizowane modele badań przesiewowych wykazują efektywność kosztową w porównaniu do braku badań przesiewowych.

Prognozowane wydatki płatnika publicznego wynikające z realizacji testu przesiewowego HIV, oszacowane na podstawie danych NFZ (wielkość populacji pacjentów POZ powyżej 15 r.ż.) oraz danych literaturowych (akceptowalność testowania w kierunku HIV), wyniosły: ok. 0,4 mln zł rocznie w wariancie minimalnym (10 350 testów rocznie); ok. 1,5 mln zł rocznie w wariancie najbardziej prawdopodobnym (36 662 testów rocznie); oraz ok. 12,6 mln zł rocznie w wariancie maksymalnym (316 930 testów rocznie).

Główne argumenty decyzji

- *Wytyczne praktyki klinicznej zalecające stosowanie testu IV generacji jako badania przesiewowego w kierunku HIV u osób powyżej 15 r.ż.*
- *Dowody naukowe wskazujące na wysoką czułość (w przypadku przewlekłego zakażenia) oraz swoistość testów w kierunku HIV IV generacji vs Western Blot HIV / testy molekularne (NAAT)/ INNO-LIA HIV I/II Score (test immunoenzymatyczny).*
- *Badania przesiewowe w kierunku HIV mają kluczowe znaczenie w identyfikacji zakażenia i powinny być jednym z elementów podstawowej opieki zdrowotnej. Obecna strategia diagnostyczna opierająca się wyłącznie na Punktach Konsultacyjno-Diagnostycznych jest niewystarczająca, szczególnie wśród osób heteroseksualnych, kobiet, nastolatków oraz osób powyżej 60. r.ż., co prowadzi do późnego rozpoznania i negatywnych konsekwencji zdrowotnych.*

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31c ust. 6 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem opracowania nr: WS.420.3.2025 „Wprowadzenie testowania przesiewowego anty-HIV testem przesiewowym IV generacji” Ocena zasadności wprowadzenia testu do świadczeń gwarantowanych z zakresu podstawowej opieki zdrowotnej; data ukończenia 25.02.2025 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 31/2025 z dnia 3 marca 2025 roku
w sprawie zasadności kwalifikacji świadczenia opieki zdrowotnej
„Moje zdrowie - bilans zdrowia osoby dorosłej” jako świadczenia
gwarantowanego

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „Moje zdrowie - bilans zdrowia osoby dorosłej” jako świadczenia gwarantowanego, pod warunkiem:

- *uzgodnienia trybu wykonywania testu FIT w połączeniu z programem przesiewowym raka jelita grubego;*
- *uzgodnienia zasadności realizacji testów przesiewowych w zakresie depresji;*
- *uzgodnienia zasadności realizacji testów przesiewowych w kierunku otyłości;*
- *dobrania zakresu badań do określonej grupy wiekowej i czynników ryzyka;*
- *uzależnienia premiowania od zrealizowania w określonym odsetku populacji pełnego programu.*

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Przedmiotem niniejszego raportu jest ocena zasadności zakwalifikowania świadczenia pn. „Moje zdrowie – bilans zdrowia osoby dorosłej” jako świadczenia gwarantowanego z zakresu podstawowej opieki zdrowotnej.

Zgodnie z załączoną do zlecenia Kartą Świadczenia Opieki Zdrowotnej (KŚOZ), bilans zdrowia byłby wykonywany u każdej osoby dorosłej po ukończeniu 20 roku życia, niezależnie od wywiadu zdrowotnego, które złożyły deklarację do lekarza POZ. Ocena stanu zdrowia ma być dokonywana w obszarze: stylu życia, wywiadu rodzinnego (m.in. choroby uwarunkowane genetycznie), chorób sercowo-naczyniowych, nowotworowych, zdrowia psychicznego, uzależnień, realizacji szczepień zalecanych. Zakres bilansu zależy od wieku i płci pacjenta oraz wcześniej rozpoznanych u niego czynników ryzyka i/lub chorób przewlekłych.

Bilans zdrowia będzie wykonywany u osób w wieku:

- 20–59 lat: nie częściej niż raz na 5 lat,
- 60 lat i więcej: nie częściej niż co 3 lata (zasada odstępu czasowego analogicznie jak obecnie program CHUK).

Celem bilansu zdrowia dorosłych jest:

- 1) poprawa wczesnej wykrywalności chorób układu krążenia i cukrzycy, chorób nerek, zaburzeń funkcji tarczycy, wybranych chorób onkologicznych, wybranych chorób infekcyjnych (HCV) oraz zaburzeń psychicznych i poznawczych;
- 2) zwiększenie odsetka realizacji szczepień zalecanych w populacji osób dorosłych;
- 3) profilaktyka pierwotna z położeniem nacisku na edukację, modyfikację stylu życia, ograniczenie czynników ryzyka występowania w/w schorzeń;
- 4) wsparcie postaw prozdrowotnych oraz dbałości o środowisko życia.

Dowody naukowe

Zalecenia opracowano w oparciu o wybrane elementy wytycznych różnych towarzystw naukowych, z różnych krajów świata. W ujęciu całościowym tworzą one bardzo uogólniony zestaw działań, nierzadko sprzeczny z wytycznymi uznanych towarzystw. Np.:

- badania przesiewowe w kierunku chorób sercowo-naczyniowych (lipidogram), raka jelita grubego (test iFOBT/FIT) oraz cukrzycy (stężenie glukozy na czczo) zalecane są w populacji osób w wieku 40–75 lat, w zależności od stopnia ryzyka zachorowania (RACGP 2024, CFPC 2023, CFPC 2019, AAFP 2017);
- nie rekomenduje się oznaczania poziomu TSH i PSA całkowitego w populacji ogólnej u bezobjawowych dorosłych (RACGP 2024, AAFP 2017);
- badania przesiewowe w kierunku wykrywania depresji i zaburzeń poznawczych powinny być wykonywane dopiero w przypadku objawów zgłaszanych przez pacjenta lub opiekuna (RACGP 2024, CFPC 2019, AAFP 2017);

Problem ekonomiczny

Zgodnie z informacjami zawartymi w Karcie Świadczenia Opieki Zdrowotnej (KŚOZ), proponowany jest trójstopniowy model finansowania bilansu zdrowia dorosłych (BZD):

- finansowanie zadaniowe (fee for servis),
- premia za objęcie BZD - analogicznie jak obecnie w CHUK (za odsetek populacji z przygotowanym IPZ i za przyrost odsetka w skali roku),

- *premia za zrealizowane przez pacjenta, wskazane w IPZ badania profilaktyczne w ramach programów przesiewowych (program przesiewowy raka szyjki macicy, raka piersi, raka jelita grubego, raka płuca, inne realizowane przez NFZ programy profilaktyczne w przyszłości).*

Populacja objęta badaniami byłaby bardzo liczna. Według różnych kalkulacji może się wahać od ok. 749 tys. w 1. roku do 3,2 mln w 10. roku. Według innych szacunków – od kilku do 26 milionów osób. Koszty takiego programu są bardzo trudne do przewidzenia, lecz mogą sięgać setek milionów zł rocznie.

Główne argumenty decyzji

- *W świetle analizowanych wytycznych praktyki klinicznej wykonywanie badań profilaktycznych na poziomie podstawowej opieki zdrowotnej jest kluczowym elementem zapobiegania i wczesnego wykrywania chorób cywilizacyjnych występujących u osób dorosłych. Należy pamiętać, że wybrane badania diagnostyczne i interwencje behawioralne będące elementem wnioskowanego świadczenia powinny być wykonywane w określonych grupach wiekowych i narażonych na czynniki ryzyka występowania danych schorzeń, w szczególności chorób układu sercowo-naczyniowego.*
- *Skala działań planowanych w świadczeniu „Moje zdrowie - bilans zdrowia osoby dorosłej” jest bardzo obszerna, lecz nie uwzględnia zróżnicowanej wiekowo charakterystyki zagrożeń. Zasadność badań o tak dobranym spektrum nie została jak dotąd praktycznie zweryfikowana.*
- *Wartość praktyczna tych działań i ich zakresu byłaby możliwa do przewidzenia po zapoznaniu się z wynikami realizowanych już w Polsce programów:*
 - *Program CHUK – profilaktyka chorób układu krążenia – dla osób w wieku 35-65 lat,*
 - *Program Profilaktyka 40+,*
 - *Program profilaktyki chorób odtyniowych (w tym POChP) – od 18 r.ż.*
- *Wiele badań proponowanych w nowym świadczeniu gwarantowanym pokrywa się z badaniami w już istniejących alternatywnych programach.*
- *Koszty świadczenia „Moje zdrowie - bilans zdrowia osoby dorosłej” są bardzo trudne do przewidzenia.*

Dodatkowe argumenty:

- *we włączonych wytycznych nie zostały określone: częstotliwości wykonywania całościowej oceny stanu zdrowia pacjenta na poziomie podstawowej opieki zdrowotnej czy ograniczenia wiekowe dla oznaczania*

stężenia kreatyniny, lipoproteiny A, prób wątrobowych i przeciwciał anty HCV;

- *ponadto w wytycznych nie doprecyzowano:*
 - *zalecanej liczby porad edukacyjnych dotyczących prawidłowych nawyków żywieniowych oraz ograniczania stosowania używek (palenia tytoniu, nadmiernego spożycia alkoholu),*
 - *kwestii dotyczących zasobów kadrowych w kontekście realizacji badań profilaktycznych na poziomie podstawowej opieki zdrowotnej przez inny personel medyczny niż lekarz;*
- *w opinii eksperta w programie „Moje zdrowie - bilans zdrowia osoby dorosłej” nie powinno się oferować testu FIT, jako badania nie powiązanego z pełnowartościowym programem badań przesiewowych raka jelita grubego. Takie badania powinny dotyczyć populacji w wieku 50-75 lat.*

Premiowanie za włączenie do programu może być dodatkowym, dużym obciążeniem budżetu.

Uwagi Rady:

- 1. Powinna być przeprowadzona ewaluacja programu 40+ i programu CHUK.*
- 2. W przypadku wprowadzenia ocenianego świadczenia gwarantowanego należy dokonywać okresowej oceny jego efektywności co 3 lata.*
- 3. Należy określić okres, po którym pacjent od momentu przeprowadzenia badań w programie 40+ i programie CHUK, będzie kwalifikował się do ocenianego świadczenia.*

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31c ust. 6 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem opracowania nr: WS.420.2.2025 „Moje zdrowie – bilans zdrowia osoby dorosłej” Ocena zasadności zakwalifikowania świadczenia jako świadczenia gwarantowanego z zakresu podstawowej opieki zdrowotnej; data ukończenia: 27.02.2025 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 32/2025 z dnia 3 marca 2025 roku
w sprawie zbadania zasadności wydawania zgód na refundację
środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego
MMA/PA Anamix Infant; MMA/PA Anamix Junior; MMA/PA gel;
MMA/PA Express 15; MMA/PA Cooler 15 we wskazaniach: acyduria
metylomalonowa, acyduria propionowa

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego:

- *MMA/PA Anamix Infant, proszek doustny;*
- *MMA/PA Anamix Junior, proszek doustny;*
- *MMA/PA gel, proszek doustny;*
- *MMA/PA Express 15, proszek doustny;*
- *MMA/PA Cooler 15, płyn doustny,*

we wskazaniach: acyduria metylomalonowa, acyduria propionowa.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Acyduria (kwasica) metylomalonowa (ang. methylmalonic aciduria, MMA) jest wywołana niedoborem/defektem enzymu mutazy metylomalonylo-CoA (MCM) lub jego kofaktora: witaminy B12. MCM ogranicza konwersję metylomalonylo-CoA do bursztynylo-CoA i jest współodpowiedzialny za rozkład i prawidłowy metabolizm białek oraz niektórych tłuszczów. Istnieje wiele wariantów acydurii metylomalonowej w zależności od rodzaju mutacji. W obrazie klinicznym dominuje ciężka postać kwasicy; z kolei w moczu wydalany jest kwas metylomalonowy, którego stężenie stwierdza się również we krwi i płynie mózgowo-rdzeniowym u poważnie chorych pacjentów. MMA należy do grupy chorób wrodzonych wad metabolizmu. Choroba dziedziczona jest w sposób autosomalny recesywny. Częstość występowania acydurii metylomalonowej w Europie szacuje się pomiędzy 1:48 000 a 1:61 000 urodzeń. Leczeniem jest dieta z ograniczeniem aminokwasów: izoleucyny, metioniny, treoniny i waliny. W postaciach kobalaminozależnych choroby suplementacja witaminą B12. Rokowania są ogólnie słabe pomimo terapii dietą niskobiałkową i karnityną,

z wyjątkiem form MMA reagujących na witaminę B12, które, jeśli zostaną szybko zdiagnozowane i leczone w odpowiednim czasie mają lepsze rokowania.

Acyduria (kwasica) propionowa (ang. Propionic acidemia, PA) to organiczna kwasica spowodowana przez niedobór karboksylazy propionylo-CoA zależnej od biotyny. Podczas przemiany aminokwasów: izoleucyny, waliny, metioniny i treoniny, a także nieparzystołańcuchowych kwasów tłuszczowych i cholesterolu następuje ich degradacja do propionylo-CoA. Związek ten jest następnie konwertowany przez karboksylazę propionylo-CoA do metylomalonylo-CoA. Niedobór karboksylazy powoduje powstanie kwasu propionowego, który w ostrej postaci choroby gromadzi się, prowadząc do zaburzeń biochemicznych, w tym głębokiej kwasicy metabolicznej (z powodu produkcji ciał ketonowych i akumulacji kwasów organicznych), hipoglikemii i hiperamonemii. Choroba charakteryzuje się zagrażającymi życiu epizodami dekompensacji metabolicznej, zaburzeniami neurologicznymi oraz powikłaniem w postaci kardiomiopatii. PA należy do grupy wrodzonych wad metabolizmu. Choroba dziedziczona jest w sposób autosomalny recesywny. Częstość występowania choroby szacuje się na około 1:50 000 – 1:100 000. Leczeniem jest dieta z ograniczeniem prekursorów kwasu propionowego, tj. izoleucyny, metioniny, treoniny i waliny oraz suplementacja karnityny. Wczesne wykrycie i leczenie prowadzi do spadku śmiertelności w pierwszym roku życia i zwiększa przeżycie we wczesnym dzieciństwie. Dzięki zastosowaniu leczenia można uniknąć ostrych przełomów z hiperamonemią, co zmniejsza ryzyko zgonu oraz wystąpienia upośledzenia umysłowego i niedowładów (zespołu pozapiramidowego). Jednakże odsetek pacjentów z zaburzeniami rozwoju poznawczego wśród pacjentów z acydurią propionową wciąż pozostaje wysoki.

Liczebność populacji: Według informacji otrzymanych od Ministerstwa Zdrowia w okresie od stycznia do grudnia 2024 r. liczba osób ze wskazaniami acyduria metylomalonowa i acyduria propionowa ubiegających się o refundację w ramach importu docelowego śsspz wyniosła łącznie 14.

Według ekspertów klinicznych w dziedzinie pediatrii metabolicznej obecnie w Polsce na acydurię propionową choruje ok. 20 osób, a na acydurię metylomalonową ok. 25 osób, zaś liczba nowych zachorowań w ciągu roku wynosi 1-2 w przypadku PA i 1- 3 w przypadku MMA.

Analizowane śsspz nie były dotychczas przedmiotem oceny Agencji. Natomiast w ramach importu docelowego, we wskazaniach acyduria metylomalonowa i acyduria propionowa oceniane były następujące produkty lecznicze i śsspz: XMTVI Maxamum i XMTVI Maxamaid, Milupa Basic-P, Isoleucine 50, FruitiVits, S.O.S. 10, 15, 20, 25 (AP), MCT Oil (MMA). Śsspz XMTVI Maxamum i XMTVI Maxamaid mają zbliżony skład do ocenianych preparatów. Zarówno Stanowisko Rady Przejrzystości, z dnia 25.11.2024 r., jak i rekomendacja Prezesa Agencji były negatywne.

Eksperci kliniczni wskazują, że odsetek pacjentów, u których oceniana technologia byłaby stosowana zarówno w pierwszym jak i w drugim roku po objęciu ich refundacją wynosić może między 0 a 100% w zależności od stanu klinicznego. Obecnie problemem jest brak bezpośredniej dostępności śsspż, tj. brak rejestracji w Polsce, co znacznie utrudnia niezwłoczne wprowadzenie rekomendowanego postępowania dietetycznego oraz brak możliwości wyboru innego preparatu przy złej tolerancji preparatu zastosowanego (brak opcji zlecenia preparatu na próbę).

Dowody naukowe

Brak prospektywnych badań klinicznych dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego MMA/PA Anamix Infant, proszek doustny; MMA/PA Anamix Junior, proszek doustny; MMA/PA gel, proszek doustny; MMA/PA Express 15, proszek doustny; MMA/PA Cooler 15, płyn doustny lub innych preparatów zawierających mieszankę aminokwasów bez metioniny, treoniny, waliny i z ograniczoną zawartością izoleucyny w leczeniu acydurii propionowej lub acydurii metylomalonowej. Do analizy klinicznej włączono sześć badań retrospektywnych, w których ocenianą interwencją był preparat zawierający mieszankę aminokwasów bez metioniny, treoniny, waliny i z ograniczoną zawartością izoleucyny. W badaniu Manoli 2016 wśród zastosowanych preparatów wymieniono MMA/PA Express. Ponadto, cel badawczy części badań był inny niż ocena skuteczności i bezpieczeństwa śsspż zawierających mieszankę aminokwasów bez aminokwasów prekursorowych. Pacjenci uczestniczący w badaniach poza mieszanką aminokwasów stosowali dodatkowo inną suplementację / leczenie.

Mobarak 2021: Pomimo wysokiego całkowitego spożycia białka i aminokwasów, pacjenci wykazali nierównowagę stosunków BCAA. Najnowsze wytyczne stanowią, że formuła medyczna wolna od prekursorowych AA powinna być przepisywana tylko pacjentom, którzy nie są w stanie tolerować całkowitego RDA białka z naturalnych źródeł. U tych pacjentów zaleca się, aby poziomy BCAA były monitorowane.

Manoli 2016: Żywność medyczna dla MMA i PA zawiera minimalną lub zerową ilość Val, Ile, ale ma zwiększoną ilość Leu. Nadmierne stosowanie żywności medycznej, zwłaszcza w warunkach zmniejszonego spożycia naturalnego białka, spowodowało jatrogenne niedobory aminokwasów i było związane ze słabym wzrostem. Niezrównoważona podaż leucyny niesie długofalowe ryzyko dla wychwytu aminokwasów w mózgu i metabolizmu całego organizmu. Należy przeprowadzić prospektywne badania mające na celu uzyskanie optymalnego składu mieszanek aminokwasowych.

Touati 2006: W tym badaniu mieszanki AA (dawkowane 0,5-0,6 g/kg m.c.) nie wydają się odgrywać istotnej roli w długoterminowych wynikach żywieniowych i rozwojowych pacjentów, ale długofalowy efekt niskiego poziomu niezbędnych aminokwasów we krwi nie został jeszcze oceniony.

Molema 2019a: Stężenia L-argininy i L- waliny w osoczu u pacjentów MMA/PA były dodatnio skorelowane z wynikami z-score wzrostu. Niezbędne są dalsze badania, aby umożliwić sformułowanie zaleceń dotyczących stężeń L- argininy w osoczu, stężeń BCAA w osoczu i optymalnego spożycia naturalnego białka (stosunku białka do energii) oraz aby określić, czy suplementacja L-argininą i BCAA u pacjentów MMA/PA może być ważną i bezpieczną metodą.

Molema 219b: Zastosowanie naturalnego białka było blisko RDA, jednakże u pacjentów z MMA i PA obserwowano bardzo niskie stężenia w osoczu BCAA oraz nieprawidłowe stosunki stężeń BCAA.

Stanescu 2021: Pacjenci z acydurią propionową mogą doświadczać poważnych powikłań hematologicznych nawet w okresach stabilności metabolicznej. Ciężka niedokrwistość może być spowodowana brakiem równowagi poziomu BCAA w osoczu, prawdopodobnie z powodu niskiego spożycia naturalnego białka/ wysokiego spożycia białka syntetycznego.

Wytyczne kliniczne: zalecenia dietetyczne Polska 2020, BDA 2020, E-IMD 2024 am/ap, Forny 2021, Jurecki 2019, Baumgartner 2014 nie odnoszą się konkretnie do opisywanych w niniejszym raporcie śsspż. Wszystkie zalecają ograniczenie aminokwasów prekursorowych (izoleucyny, waliny, treoniny i metioniny) poprzez ograniczenie spożycia naturalnego białka, a w przypadku, gdy spożycie naturalnego białka okaże się niewystarczające do pokrycia dziennego zapotrzebowania na białko, zalecane jest wprowadzenie suplementów aminokwasowych ubogich w metioninę, treoninę, walinę i izoleucynę.

Australijska agencja PBAC wydała 5 rekomendacji dotyczących wszystkich środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego będących przedmiotem niniejszego wniosku i wszystkie są pozytywne.

Nowozelandzka Agencja Pharmac w 2024 r. wydała pozytywną rekomendację dotyczącą finansowania śsspż MMA/PA Anamix Infant, MMA/PA Anamix Junior we wskazaniu: acyduria metylomalonowa, acyduria propionowa. Rekomendacja ta jest jednocześnie decyzją o refundacji.

Jako komparator wytyczne kliniczne zalecają ograniczenie aminokwasów prekursorowych (izoleucyny, waliny, treoniny i metioniny) poprzez ograniczenie spożycia naturalnego białka, a w przypadku gdy spożycie naturalnego białka okaże się niewystarczające do pokrycia dziennego zapotrzebowania na białko, zalecane jest wprowadzenie suplementów aminokwasowych ubogich w metioninę, treoninę, walinę i izoleucynę.

Eksperci kliniczni wskazują, że aktualnie stosowanym postępowaniem medycznym jest postępowanie dietetyczne w zakresie kontrolowanego spożycia białka naturalnego i suplementacji środków spożywczych specjalnego przeznaczenia medycznego nie zawierających białka (np. Basic-p lub Basecal).

Zgodnie z aktualnym Obwieszczeniem MZ, dla pacjentów z acydurią metylomalonową lub propionową refundowana jest L-karnityna (program lekowy B.109) i kwas kargluminowy (program lekowy B.143), które nie stanowią komparatora dla ocenianych interwencji.

Problem ekonomiczny

W 2024 r. w ramach importu docelowego zrefundowano łącznie 193 opakowania ocenianych śsspż dla 14 pacjentów we wskazaniach acyduria metylomalonowa i acyduria propionowa (złożono 20 wniosków o refundację).

Ponadto zgodnie z informacją zawartą w zleceniu ceny poszczególnych preparatów wynoszą:

- MMA/PA Anamix Infant, proszek doustny - 513,31 zł za opakowanie 400 g, zrefundowano 11 opakowań dla 1 pacjenta na sumę 5 646,41 zł.
- MMA/PA Anamix Junior, proszek doustny - 956,04 zł za opakowanie zbiorcze po 30 saszetek po 18 g. Zrefundowano 93 opakowania dla 5 pacjentów na sumę 88 911,72 zł.
- MMA/PA gel, proszek doustny - 1 400,99 zł za opakowanie zbiorcze po 30 saszetek po 24 g. Zrefundowano 0 opakowań w 2024 r, w 2023 r. 12 opakowań dla 1 pacjenta na sumę 16 811, 88 zł.
- MMA/PA Express 15, proszek doustny - 4 426,24 zł za opakowanie zbiorcze po 30 saszetek po 25 g. Zrefundowano 36 opakowań dla 2 pacjentów na sumę 159 344,64 zł.
- MMA/PA Cooler 15, płyn doustny - 3 824,04 zł za opakowanie zbiorcze po 30 saszetek po 130 ml. Zrefundowano 53 opakowania dla 6 pacjentów.

Łączna suma dla 14/15 pacjentów/1 rok wynosi 456 576,77 zł /473 388,77 zł.

- oszacowano średnią liczbę opakowań śsspż przypadającą na jednego pacjenta na rok terapii w zależności od stosowanego preparatu we wskazaniach MMA/PA. Najwyższa średnia liczba opakowań przypadających na roczną terapię jednego pacjenta była związana ze śsspż MMA/PA Anamix Junior (18,6 opakowań) i MMA/PA Express 15 (18 opakowań). Najniższa średnia liczba opakowań przypadająca na jednego pacjenta rocznie była związana ze stosowaniem MMA/PA Cooler 15 (8,8 opakowania). Warto zauważyć, że wykorzystanie

poszczególnych śsspż jest zmienne: w 2024 r. nie zrefundowano żadnego opakowania MMA/PA gel, a w 2023 r. dla jednego pacjenta zrefundowano 12 opakowań MMA/PA gel.

Główne argumenty decyzji

- *Badania naukowe i wytyczne kliniczne.*
- *Wymienione środki spożywcze specjalnego przeznaczenia żywieniowego (śsspż) należy stosować u pacjentów, u których niemożliwa jest dobra kontrola tylko przy stosowaniu diety o kontrolowanej ilości białka naturalnego.*

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 2024 r., poz. 930 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności wydawania zgody na refundację nr: OT.4211.39.2024 „MMA/PA Anamix Infant, proszek doustny; MMA/PA Anamix Junior, proszek doustny; MMA/PA gel, proszek doustny; MMA/PA Express 15, proszek doustny; MMA/PA Cooler 15, płyn doustny we wskazaniach: acyduria metylomalonowa i acyduria propionowa; data ukończenia: 25 lutego 2025 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 37/2025 z dnia 3 marca 2025 roku
o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej szczepień
przeciwko krztuścowi w Małopolsce”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej szczepień przeciwko krztuścowi w Małopolsce”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.

Uzasadnienie

Oceniany projekt programu, pt. „Program polityki zdrowotnej szczepień przeciwko krztuścowi w Małopolsce” został zaplanowany do realizacji w latach 2025-2030.

Projekt PPZ skierowany jest do mieszkańców województwa małopolskiego, bez przeciwwskazań lekarskich.

W treści projektu wnioskodawca przedstawił populację, która planowo zostanie włączona do programu według dwóch wariantów:

- *wariant I: zaplanowano szczepienie osób dorosłych niezaszczepionych w ciągu ostatnich 10 lat, osób w 19 roku życia zamiast szczepienia przypominającego Td, osób z nieznaną historią szczepień, jeżeli nie podlegają szczepieniom przeciw krztuścowi ze środków publicznych.*

Wariant I będzie realizowany z pierwszeństwem dla grup mających szczególny wpływ na transmisję choroby przebywających w dużych zbiorowiskach (np. personel w placówkach opiekuńczo-wychowawczych, żłobkach, szkołach). W ramach tego wariantu zaszczepione zostaną grupy ok. 300 osób. Program w wariantcie I będzie finansowany z budżetu Województwa Małopolskiego i realizowany przez realizatora programu (realizatorów) wybranego w drodze konkursu ofert;

- *wariant II: wnioskodawca zaplanował szczepienie innych osób niż wymienione w wariantcie I. Zaznaczono, że w ramach wariantu II zaszczepione zostaną grupy ok. 1710 osób, z zastrzeżeniem, że w wariantcie tym dopuszczone zostaną również szczepienia osób wymienionych w wariantcie I, jeżeli te osoby nie mogłyby skorzystać ze świadczenia w ramach wariantu I programu. Wariant II programu będzie finansowany z budżetu Województwa Małopolskiego*

oraz z budżetów powiatów współpracujących z gminami z terenu Małopolski, które przystąpią do wspólnej realizacji z Województwem Małopolskim i dokonają wyboru podmiotów leczniczych – realizatorów programu w drodze konkursu ofert.

Wnioskodawca zaznacza, że według stanu na 31 grudnia 2023 r. populacja Małopolski ogółem liczyła 3 429 632 osoby, w tym w wieku 19 i więcej lat 2 738 116 osób.

W zakresie działań interwencyjnych zaplanowano realizację działań informacyjno-edukacyjnych oraz szczepień przeciw krztuścowi poprzedzonych wizytą kwalifikującą (wraz z edukacją uczestnika).

Całkowity budżet programu oszacowano na 3 879 733,90 zł. Program ma zostać sfinansowany przez Województwo Małopolskie – 100% (wariant I) oraz Województwo Małopolskie ok. 50%, a także powiaty współpracujące z gminami ok. 50% (wariant II).

Wnioskodawca podkreślił, że liczebność populacji włączonej corocznie do programu według realizowanych wariantów uzależniona będzie od wysokości środków finansowych pozostających w dyspozycji Województwa Małopolskiego oraz powiatów współpracujących z gminami, które przystąpią do wspólnej realizacji programu wraz z Województwem Małopolskim.

Głównym założeniem (celem) programu jest zmniejszenie liczby zachorowań na krztusiec na terenie województwa małopolskiego poprzez zwiększenie o 30% poziomu zaszczepienia przeciwko krztuścowi (tężcowi i błonicy) w populacji docelowej programu.

W projekcie wskazano również 2 cele szczegółowe odnoszące się do wzrostu liczby osób dorosłych poddających się szczepieniom przeciw krztuścowi oraz wzrostu podstawowej wiedzy o zaletach szczepienia przeciw krztuścowi wśród uczestników.

Dokonując oceny projektu PPZ należy wskazać, że dotyczy on problemu zdrowotnego, jakim jest krztusiec, który jest bakteryjną chorobą zakaźną przebiegającą pod postacią zapalenia oskrzeli o przewlekającym się charakterze, z ciężkimi napadami kaszlu. Obraz kliniczny przypomina zapalenie oskrzeli z napadowym, przewlekłym kaszlem. Przebieg choroby i nasilenie objawów są zróżnicowane, zależnie od stanu uodpornienia. Ponowne zachorowania lub zachorowania po szczepieniu mają łżejszy przebieg i nietypowy obraz kliniczny – dominuje przewlekły, niecharakterystyczny kaszel. Największe ryzyko powikłań występuje u niemowląt (zwłaszcza <6 m.ż.) i pacjentów z przewlekłymi chorobami współistniejącymi (zwłaszcza nerwowo-mięśniowymi). Wyróżnia się między innymi zapalenie płuc, przepuklinę, wypadanie odbytnicy, nietrzymanie moczu, a także powikłania neurologiczne (zwłaszcza u niemowląt, rzadko

u dorosłych), w tym drgawki, obrzęk mózgu, mogą pozostać trwałe następstwa – niepełnosprawność intelektualna, głuchota, padaczka.

Zgodnie z danymi NIZP PZH-PIB w Polsce w 2024 r. odnotowano 32 420 przypadki zachorowań na krztusiec (86,33/100 tys.), co stanowi ponad 41-krotny wzrost zachorowań na ww. jednostkę chorobową w stosunku do roku 2023, w którym odnotowano 922 przypadki. Warto także podkreślić, że łączna liczba zachorowań na krztusiec w latach 2015-2023 wyniosła 22 225 przypadków, co stanowiło o ok. 10 tys. mniej zachorowań niż w samym 2024 r. Ponadto, zgodnie z najnowszymi danymi, od 1 stycznia do 15 lutego 2025 r. odnotowano już 3 862 nowych przypadków krztuśca.

Podstawową metodą profilaktyki krztuśca jest szczepienie, jednak ani szczepienie, ani przebycie krztuśca nie daje trwałej odporności. Ponowne zachorowania mają z reguły łżejszy przebieg.

Obecnie w Polsce profilaktyka w postaci szczepień przeciwko krztuścowi jest realizowana poprzez szczepienia obowiązkowe oraz dobrowolne (zalecane). Zgodnie z PSO na 2025 rok, szczepienia obowiązkowe obejmujące szczepienia przeciwko krztuścowi realizowane są w populacji dzieci i młodzieży (4 dawki szczepienia podstawowego: w 2, 4, 6 oraz 16-18 m.ż., a następnie 2 dawki szczepienia przypominającego: w 6 i 14 r.ż.).

Generalnie eksperci kliniczni opowiadają się za finansowaniem PPZ z zakresu profilaktyki krztuśca z wykorzystaniem szczepionki Tdap, wskazując na wysoką transmisyjność krztuśca, znaczną dynamikę w zakresie sytuacji epidemiologicznej krztuśca w ostatnich latach, ryzyko poważnych powikłań krztuśca u osób niezaszczepionych oraz skuteczność i bezpieczeństwo dostępnych preparatów szczepionkowych. Ekspertów są zgodni również co do zasadności realizacji w ramach PPZ dodatkowych działań edukacyjnych; grupa docelowa ocenianego PPZ znajduje odzwierciedlenie w części wytycznych. Przy tym większość wytycznych wskazuje, że szczepienie osób dorosłych zalecane jest, jeśli od ostatniego szczepienia przeciwko krztuścowi upłynęło co najmniej 10 lat, gdyż po tym czasie zanika odporność poszczepienna.

Uwagi Rady:

- Cel szczegółowy nr 1 został sformułowany nieprawidłowo, nie odnosi się do efektu zdrowotnego. Cel szczegółowy nr 2 odnosi się do wzrostu poziomu wiedzy, przy czym wnioskodawca nie zaplanował prawidłowej weryfikacji skuteczności działań edukacyjnych, tj. przeprowadzenia pre- i post- testu wiedzy.
- Do projektu PPZ załączono „Ankietę Uczestnika Programu”, która zawiera elementy (pytania) odnoszące się do wzrostu wiedzy, w większym stopniu jest jednak ankietą satysfakcji uczestnika PPZ. Należy zaznaczyć,

że działaniem prawidłowym byłoby zaprojektowanie osobnej ankiety dot. oceny wzrostu wiedzy, która byłaby przez uczestnika wypełniana przed i po realizacji działań edukacyjnych.

- *Projekt PPZ przewiduje określone kryteria kwalifikacji do programu i wyłączenia (np. brak zamieszkania na terenie województwa małopolskiego, wiek osoby, szczepienie przeciw krztuścowi w ciągu ostatnich 10 lat) brak jest natomiast informacji, w jaki sposób kryteria te będą ustalane (np. w drodze oświadczenia).*
- *PPZ posiada nieprawidłowo sformułowane mierniki efektywności.*
- *Ze względu na niewielką liczbę prawidłowo sformułowanych mierników, przeprowadzenie kompleksowej oceny efektywności PPZ może okazać się utrudnione.*

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 późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr: OT.431.3.2025 „Program polityki zdrowotnej szczepień przeciwko krztuścowi w Małopolsce” realizowany przez: Województwo Małopolskie; data ukończenia: luty 2025 oraz Aneksu „Programy z zakresu profilaktyki krztuśca z wykorzystaniem skojarzonej szczepionki przeciw błonicy, tężcowi i krztuścowi, z obniżoną dawką antygenów błonicy i krztuśca (Tdap) – wspólne podstawy oceny” z lutego 2025 r.