

Opinia Rady Przejrzystości
nr 247/2012 z dnia 2012 r.

w sprawie świadczenia wysokospecjalistycznego nr 3 –
„przeszczepienie płuc” dotycząca

- zmiany finansowania przeszczepienia obu płuc u dorosłych i dzieci z mukowiscydozą – wariant 3.3 oraz
- wyodrębnienia nowych wariantów świadczenia, tj. wariantu 3.4.
 - przeszczepienie płuca u chorych z pierwotnym nadciśnieniem płucnym oraz 3.5. - przeszczepienie obu płuc u chorych z pierwotnym nadciśnieniem płucnym

Rada wyraża pozytywną opinie nt.:

- 1. Zmian finansowana przeszczepienia obu płuc u dorosłych i dzieci z mukowiscydozą – wariant 3.3. jako wariantu, świadczenia wysokospecjalistycznego nr 3 „przeszczepienie płuc”, finansowanego ze środków budżetu państwa będących w dyspozycji ministra właściwego do spraw zdrowia*
 - 2. Wyodrębnienia nowych wariantów:*
 - 1) Przeszczepienie płuca u chorych z pierwotnym nadciśnieniem płucnym – 3.4.;*
 - 2) Przeszczepienie obu płuc u chorych z pierwotnym nadciśnieniem płucnym – 3.5.;*
- jako wariantów 3.4 i 3.5., świadczenia wysokospecjalistycznego nr 3 „przeszczepienie płuc”, finansowanego ze środków budżetu państwa będących w dyspozycji ministra właściwego do spraw zdrowia.*

Uzasadnienie

Ww. opinia podyktowana jest względami medycznymi i społecznymi.

Przedmiot zlecenia

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczyło wydania opinii na temat możliwości dokonania zmiany w dokumentacji przetargowej wykorzystywanej przez Ministra Zdrowia w konkursie ofert na realizację świadczeń wysokospecjalistycznych finansowanych z budżetu państwa, z części pozostającej w dyspozycji ministra właściwego do spraw zdrowia, w zakresie:

1. Zmian finansowana przeszczepienia obu płuc u dorosłych i dzieci z mukowiscydozą – wariant 3.3. jako wariantu, świadczenia wysokospecjalistycznego nr 3 „przeszczepienie płuc”, finansowanego ze środków budżetu państwa będących w dyspozycji ministra właściwego do spraw zdrowia

2. Wyodrębnienia nowych wariantów:

- 1) Przeszczepienie płuca u chorych z pierwotnym nadciśnieniem płucnym – 3.4.;
- 2) Przeszczepienie obu płuc u chorych z pierwotnym nadciśnieniem płucnym – 3.5.;

- jako wariantów 3.4 i 3.5., świadczenia wysokospecjalistycznego nr 3 „przeszczepienie płuc”, finansowanego ze środków budżetu państwa będących w dyspozycji ministra właściwego do spraw zdrowia.

Problem zdrowotny

Mukowiscydoza

Mukowiscydoza (zwłóknienie torbielowate, ang. cystic fibrosis – CF) to najczęściej występująca w populacji białej choroba uwarunkowana genetycznie, dziedziczona autosomalnie recesywnie. Zdarza się z częstością ok. 1 na 3000 urodzeń. Przyczyną choroby są mutacje genu zlokalizowanego na 7 chromosomie, który koduje białko błonowe CFTR będące kanałem chlorkowym błony komórek nabłonkowych i regulatorem innych kanałów jonowych. Wadliwe białko zaburza transport chloru i sodu, czego następstwem jest zmniejszenie zawartości wody w wydzielinie przewodów wyprowadzających gruczołów zewnątrzwydzielniczych.

Leczenie mukowiscydozy jest na obecnym etapie wyłącznie objawowe. Powinno ono być prowadzone przez wielodyscyplinarny zespół (lekarz pulmonolog, pediatra, transplantolog, chirurg, rehabilitant, dietetyk i psycholog).

Zgodnie z dostępnymi danymi epidemiologicznymi co trzecim wskazaniem do przeszczepu płuc na świecie oraz do przeszczepu obu płuc jest ciężka niewydolność oddechowa w przebiegu mukowiscydozy .

Pierwotne nadciśnienie płucne

Tętnicze nadciśnienie płucne (TNP) jest chorobą przebiegającą bardzo dynamicznie o szczególnie złym rokowaniu i dotyczy w szczególności młodych osób – głównie młodych kobiet. Leczenie zachowawcze, w tym intensywna farmakoterapia jest trudna i bardzo kosztowna, często jej skuteczności jest bardzo ograniczona. Ta szczególna grupa młodych chorych w chwili kwalifikacji do transplantacji płuc wymaga priorytetowego traktowania ze względu na krótki czas przeżycia znacznie krótszy i w dużo większym stopniu mniej przewidywalny niż u chorych z mukowiscydozą.

O nadciśnieniu płucnym mówimy wówczas, gdy dochodzi do wzrostu średniego ciśnienia w tętnicy płucnej w spoczynku powyżej 25 mmHg lub powyżej 30 mmHg podczas wysiłku. Ze względu na rzadkie występowanie TNP zostało uznane przez Komisję Europejską za chorobę sierocą (ang. orphan disease), tj. chorobę, której częstość występowania nie przekraczająca pięciu chorych na 10 tysięcy). Podobne uregulowania obowiązują w Australii i USA. Ze względu na ciśnienie w tętnicy płucnej nadciśnienie płucne dzielimy na: łagodne (ciśnienie od 25 do 35 mm Hg), umiarkowane (ciśnienie do 35 do 45 mm Hg) oraz ciężkie (ciśnienie powyżej 45 mm Hg)

Obecnie obowiązuje następująca klasyfikacja nadciśnienia płucnego:

(uaktualniona klasyfikacja kliniczna nadciśnienia płucnego Dana Point, 2008)

Tętnicze nadciśnienie płucne (PAH)

- 1) Nadciśnienie płucne spowodowane chorobą lewej części serca,
- 2) Nadciśnienie płucne w przebiegu chorób płuc i/lub hipoksji,
- 3) Przewlekłe zakrzepowo-zatorowe nadciśnienie płucne (CTEPH).

Chorobowość można oszacować na 15 przypadków na 1 milion dorosłej populacji, w tym chorobowość idiopatycznego TNP – 5,9 przypadków na 1 milion populacji. Ocenia się, że w Polsce na idiopatyczne TNP zapada rocznie ok. 35-70 osób.

Opis rozpatrywanej technologii medycznej

Przeszczepienie obu płuc u dorosłych i dzieci z mukowiscydozą

Przeszczepienie płuc jest ratunkiem dla chorych, u których stwierdzono niewydolność oddechową, a tradycyjne metody zachowawcze – farmakologiczne – przestają być skuteczne. Czas skierowania do ośrodka transplantacyjnego celem ustalenia wskazań do zabiegu jest inny dla każdego pacjenta i zależy od jego indywidualnej sytuacji, wartości wskaźników czynności płuc (FEV1) i innych czynników. Płuca chorego na mukowiscydozę ulegają systematycznemu wyniszczeniu, czego przyczyną jest zalegający w nich śluz oraz nawracające infekcje.

Głównym wskazaniem do przeszczepu płuc u dorosłych i dzieci z mukowiscydozą wg International Society for Heart and Lung Transplantation (ISHLT) jest:

- przewidywany czas przeżycia 18-24 miesiące;
- ograniczona jakość życia i aktywność życiowa;
- brak poprawy po leczeniu zachowawczym;
- wiek < 55 lat, jeśli jest wskazane przeszczepianie serca i płuc, < 60 lat dla obu płuc, < 65 lat jednego płuca;
- konieczność stosowania tlenoterapii w spoczynku.

Wskazania szczegółowe:

- $FEV1 \leq 30\%$;
- szybki postęp choroby u chorych z $FEV1 \geq 30\%$ należnej. Szybki postęp choroby charakteryzują: częste hospitalizacje, gwałtowny spadek FEV1, masywne krwioplucie i narastające wyniszczenie mimo optymalnego leczenia;
- hiperkapnia $PaCO_2 > 50$ mmHg lub/i $PaO_2 < 55$ mmHg;
- powtarzające się epizody odmy płucnej;
- nadciśnienie płucne.
- W odróżnieniu od transplantacji innych narządów uszypułowanych, w przypadku płuc wymagane jest dokładne dopasowanie dawcy wobec biorcy pod względem rozmiarów pojedynczego płuca lub obu płuc.

Przeszczepienie płuca lub obu płuc u chorych z pierwotnym nadciśnieniem płucnym

Podstawowym wskazaniem do przeszczepu płuc z pierwotnym nadciśnieniem płucnym jest zaawansowana i nieodwracalna niewydolność krążeniowo-oddechowa. Do transplantacji kwalifikowane mogą być osoby w III lub IV klasie czynnościowej NYHA pomimo stosowania optymalnej terapii farmakologicznej.

Wskazania szczegółowe przeszczepienia płuc:

- parametry mające istotnie kliniczne znaczenie w kwalifikacji to: wskaźnik sercowy (CI, cardiac index) poniżej 2L/min/m² w tym:

- a) ciśnienie w prawym przedsionku (RAP) powyżej 15 mmHg;
- b) średnie ciśnienie w tętnicy płucnej (PAP) powyżej 55 mmHg.

- wynik testu sześciominutowego chodu (6MWT) – wynik poniżej 330 metrów uważany jest za rokowniczo niekorzystny

- pojawienie się niedomykalności trójdzielnej stanowi dodatkowy wskaźnik wyczerpywania się zdolności kompensacyjnych prawej komory i jest silnym wskaźnikiem przemawiającym za ewentualną wcześniejszą kwalifikacją do transplantacji

- niezamierzony spadek masy ciała świadczy o znacznym pogorszeniu stanu chorego, jest rokowniczo bardzo niekorzystny i zawsze należy brać go pod uwagę w kwalifikacji

Leczenie zachowawcze

Mukowiscydoza

- leczenie żywieniowe
- terapia niewydolności zewnątrzwydzielniczej trzustki
- profilaktyka i leczenie choroby oskrzelowo-płucnej (fizjoterapia, antybiotykoterapia, leki mukolityczne, leki rozszerzające oskrzela, leczenie przeciwzapalne, tlenoterapia, szczepienia ochronne)

- Leczenie powikłań CF

Pierwotne nadciśnienie płucne

- Aktywność fizyczna i rehabilitacja nadzorowana
- Leczenie uzupełniające: doustne leki przeciwzakrzepowe, leki moczopędne, tlenoterapia, digoksylna
- Swoista farmakoterapia: antagoniści wapnia (nifedypina, diltiazem, amlodypina), prostanoidy, Epoprostenol, Iloprost, Treprostinil, Beraprost, antagoniści receptora endoteliny (bosentan, Sitaksentan, Ambrisentan), inhibitory fosfodiesterazy typu 5 (Sildenafil, Tadalafil), leki stosowane eksperymentalnie i alternatywne strategie leczenia zachowawczego (NO-niezależne symulatory i aktywatory Comp, wazoaktywny peptyd jelitowy w inhalacji, nieprostanoidowe substancje antagonyzujące w stosunku do receptora prostaglandynowego, ERA o podwójnym działaniu na poziomie tkankowym, inhibitory inazy tyrozynowej, antagoniści serotoniny. Strategie terapii genowej.
- Leczenie skojarzone
- Przedśionkowa sepotostomia balonowa

Analiza kliniczna

Przeszczepienie płuc nie prowadzi do wyleczenia pacjenta, a jedynie do wydłużenia jego życia oraz polepszenia funkcjonowania. Mediana przeżycia pacjentów po transplantacji wynosi ok. 6,4 lat w 10-letnim okresie obserwacji. Umieszczając pacjenta na liście oczekujących na przeszczep, należy wziąć pod rozwagę: długość życia z przeszczepem na którą wpływa m.in. czas oczekiwania na organ (stan wyjściowy pacjenta) oraz relację korzyści do ryzyka wykonania transplantacji.

Określenie czynników prognostycznych oraz ryzyka zgonu na podstawie dostępnych parametrów pozwala na wdrożenie leczenia zachowawczego wydłużającego czas do przeszczepienia, a także odpowiednią alokację narządów dla chorych najbardziej potrzebujących.

W dostępnych pełnotekstowych publikacjach autorzy zwracają uwagę na wysokie ryzyko zgonu pacjentów z $FEV1 \leq 20\%$ należnej: 50%-70% w ciągu 2 lat. Pacjenci z mukowiscydozą (zgodnie z wytycznymi) powinni być uwzględnieni w kwalifikacji do przeszczepienia płuc, kiedy wartość $FEV1$ spada poniżej 30%. W przypadku kobiet i dzieci możliwość transplantacji należy rozważyć, kiedy wartość $FEV1$ osiąga 50 % wartości przynależnej.

Analiza ekonomiczna

Przeszczepienie obu płuc u dorosłych i dzieci z mukowiscydozą

- Szacunkowe skutki finansowe dla budżetu Ministra Zdrowia w skali roku wyniosą ok. 3 500 000 zł,
- Szacunkowy koszt przeszczepienia obu płuc u chorego z mukowiscydozą wynosi ok. 350 000,
- Szacowana liczba chorych rocznie ok. 10 osób.

Procedura 3.3. może być stosowana kwartalnie średnio u 2 do 3 chorych. Środki w roku 2013 i latach kolejnych będą zabezpieczone w ramach środków przyznanych w ustawie budżetowej, w budżecie Ministra Zdrowia w części 46 – Zdrowie, dziale 851 – Ochrona zdrowia, rozdziale 85151 – świadczenia wysokospecjalistyczne, § 4280 – zakup usług zdrowotnych.

Proponowany wzrost kwoty świadczenia do wysokości 350 000 zł wynika z czterech głównych przyczyn:

- 1) konieczności intensywniejszej farmakoterapii;
- 2) leczenia powikłań ze strony innych układów i narządów;
- 3) konieczności izolowania chorego;
- 4) konieczności wyodrębnienia zespołu osób tylko do leczenia chorych z mukowiscydozą (koszty osobowe)

Przeszczepienie płuca lub obu płuc u chorych z pierwotnym nadciśnieniem płucnym

- Szacunkowe skutki finansowe dla budżetu Ministra Zdrowia w skali roku wyniosą 4 940 000 zł

- Szacunkowy koszt przeszczepienia płuca wariant 3.4 – ogółem 2 560 000 zł (8 przeszczepień płuca x 320 000 zł)
- Szacunkowy koszt przeszczepienia obu płuc; wariant 3.5. – ogółem 2 380 000 zł (7 przeszczepień płuca x 340 000 zł)

Wymienione we wniosku kwoty w roku 2013 i latach kolejnych należy zaplanować w ramach środków przyznanych w ustawie budżetowej, w budżecie Ministra Zdrowia w części 46 – Zdrowie, dziale 851 – Ochrona zdrowia, rozdziale 85151 – świadczenia wysokospecjalistyczne, § 4280 – zakup usług zdrowotnych.

Proponowany wzrost kwoty świadczenia do wysokości 350 000 zł wynika z czterech głównych przyczyn:

- 1) kosztów związanych z powikłaniami po zabiegu transplantacji, przede wszystkim z niewydolnością narządów – nerek i wątroby (większe ryzyko zabiegu)
- 2) terapii nerkozastępczej
- 3) kosztów osobowych
- 4) istotnie częstszej konieczności operacji naprawczej serca.

Opinie ekspertów

Wszyscy eksperci wypowiedzieli się pozytywnie o zmianie finansowania przeszczepienia obu płuc u dorosłych i dzieci z mukowiscydozą oraz wyodrębnienia nowych wariantów świadczenia. Eksperti wskazali, że przeszczepienie płuc u chorych z mukowiscydozą wiąże się ze znacznie wyższymi kosztami niż przeszczepienie płuc z innej przyczyny. Zbyt niska wycena kosztów tego świadczenia jest elementem blokującym rozwój przeszczepienia płuc w Polsce. Eksperti zgadzali się z opisem problemu zdrowotnego i wskazaniem do przeszczepienia płuc. Oszacowaną wysokość finansowania leczenia eksperci uznali za racjonalną.

Biorąc pod uwagę powyższe argumenty, Rada Przejrzystości wydaje opinię jak na wstępie.

.....
[Redacted signature]

[Redacted name]

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt 4 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, z uwzględnieniem opracowania dla Rady Przejrzystości AOTM-OT-434-16/2012, w sprawie związanej ze świadczeniem wysokospecjalistycznym „przeszczepienie płuc” dotyczącej zmiany finansowania przeszczepienia obu płuc u dorosłych i dzieci z mukowiscydozą oraz wyodrębnienia nowych wariantów świadczenia tj. wariantu 3.4. - przeszczepienie płuca u chorych z pierwotnym nadciśnieniem płucnym oraz 3.5. - przeszczepienie obu płuc u chorych z pierwotnym nadciśnieniem płucnym”

Inne wykorzystane źródła danych, oprócz wskazanych w ww. raporcie:

1. Stanowiska eksperckie przedstawione w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości w dniu 19.11.2012r.