



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 354/2020 z dnia 28 grudnia 2020 roku

w sprawie zasadności wprowadzenia zmian w zapisach programu polityki zdrowotnej Ministra Zdrowia „Program badań przesiewowych noworodków w Rzeczypospolitej Polskiej na lata 2019-2022”

Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje zmiany w programie polityki zdrowotnej Ministra Zdrowia „Program badań przesiewowych noworodków w Rzeczypospolitej Polskiej na lata 2019-2022”, z uwagi na brak przeprowadzenia analizy skutków ekonomicznych dla wydatków płatnika publicznego w zakresie terapii SMA.

Uzasadnienie

Proponowana zmiana dotyczy wprowadzenia do badań przesiewowych noworodków testów, pozwalających na wczesne wykrycie bezobjawowych przypadków rdzeniowego zaniku mięśni. Oznaczałoby to dodanie do panelu wykonywanych badań testów PCR.

Główną korzyścią jest to, że badania przesiewowe umożliwiają leczenie dzieci, zanim pojawią się objawy. Ma to stanowić korzyść zdrowotną w porównaniu z obecną sytuacją. Dzieci z SMA są obecnie diagnozowane i leczone po wystąpieniu objawów i nieodwracalnych uszkodzeniach układu nerwowego. Badania przesiewowe w kierunku SMA mają również wady. Najbardziej znaczącą jest to, że zostanie wykryta grupa dzieci, u których nie będzie jasne, czy leczenie jest potrzebne. Choć osoby te nie mają funkcjonalnego genu SMN1 to mają stosunkowo wiele kopii SMN2. Część tych dzieci pozostanie wolna od objawów do późnego wieku, a nawet prawdopodobnie na stałe.

Wprowadzenie badań przesiewowych istotnie zwiększy liczbę pacjentów, których należy poddać leczeniu. Lek o istotnym znaczeniu u tych chorych to szczególnie drogi nusinersen.

Rekomendacje brytyjskie UK NSC z 2018 r. nie zalecają wprowadzania krajowego programu badań przesiewowych w kierunku rdzeniowego zaniku mięśni u nosicieli lub noworodków, wskazując na niedostateczną bazę dowodową. W szczególności na brak dostatecznych dowodów długoterminowej skuteczności leczenia nusinersenem dzieci bezobjawowych.



Kluczową wątpliwość dotyczącą wprowadzenia przesiewu jest kwestia kosztów prowadzenia terapii, wynikającej z wcześniejszych rozpoznań. Analizując opłacalność stosowania testów przesiewowych i leczenia SMA w Stanach Zjednoczonych, Chen w publikacji z 2020 wskazuje, że w porównaniu ze strategią polegającą na rozpoznawaniu klinicznym i stosowaniu leku, testowanie przesiewowe noworodków, połączone ze stosowaniem leku lub terapii genowej nie jest efektywne kosztowo.

W badaniu Ali Jalali i współpracowników z 2020 r. podkreślono, że opłacalność stosowania nusinersenu wraz z badaniem przesiewowym przy społecznym progu gotowości do zapłaty wynoszącym 50 000 USD/każdy zaoszczędzony rok życia (LY) wolny od zdarzeń, wymaga, by cena leku wynosiła 23 361 USD/dawkę, czyli mniej niż 1/5 ceny aktualnej (125 000 USD).

Projekt nie zawiera analizy konsekwencji ekonomicznych, związanych ze zwiększeniem częstości stosowania terapii SMA. Podaje jedynie niewystarczające kalkulacje dotyczące samego przesiewu, w których zawarte są także wyliczenia budzące wątpliwości. Na przykład błędnie wyliczono łączny koszt badań w kierunku SMA w 2021 r. Przy przyjętym koszcie jednostkowym (10,83 zł) oraz liczbie planowanych badań (141 tys.), łączny koszt powinien wynosić 1 527 030 zł, a nie jak wskazał wnioskodawca 1 280 200 zł. Podobne, nieścisłości występują w przypadku analizy badania przesiewowego w kierunku wrodzonego przerostu nadnerczy (wartość prawidłowa: 3 263 400 zł, wartość podana przez wnioskodawcę: 3 632 000 zł) oraz badania przesiewowego w kierunku deficytu biotynidazy (wartość prawidłowa: 1 280 200 zł, wartość podana przez wnioskodawcę: 1 527 030 zł). W projekcie nie określono kosztu całkowitego dla kategorii badania przesiewowego w kierunku SMA. Określono natomiast koszt zbiorczy całego programu (w 2021 r. – 40 901 280 zł oraz 2022 r. – 45 059 360 zł). Należy podkreślić, że koszty, w porównaniu do wyjściowej wersji PPZ, wzrosły (szczególnie w 2022 r. – różnica wynosząca ok. 5 mln zł), mimo obniżenia prognozy liczby dzieci przebadanych w ramach programu (na skutek obserwowanego trendu spadkowego liczby urodzeń). Wnioskodawca nie przedstawił szczegółowych informacji kosztowych oraz analizy efektywności kosztowej, zatem nie było możliwe pełne zweryfikowanie założeń budżetu.

Główne argumenty decyzji

W przesłanym przez Ministerstwo Zdrowia dokumencie znajduje się opis problemu zdrowotnego, danych epidemiologicznych, obecnego postępowania i kosztów programu przesiewowego. Brak natomiast jakiegokolwiek analizy konsekwencji klinicznych i ekonomicznych wprowadzenia skryningu SMA. Z uwagi na bardzo wysokie koszty leków stosowanych w leczeniu SMA, konieczna jest, w przypadku akceptowania wprowadzenia testów przesiewowych, świadomość pełnych konsekwencji finansowych takiej decyzji, a nie jedynie kosztów testowania, stanowiących niewielką część kosztów całkowitych. Brak jest

też analizy możliwych do uzyskania lat życia i opłacalności w postaci oszacowania kosztów LYG.

Projekt wymaga uzupełnienia o dane dotyczące skuteczności interwencji u osób bezobjawowych, zidentyfikowanych w trakcie prowadzonych pilotażowych programów przesiewowych.

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 2020 r., poz. 1398), z uwzględnieniem raportu nr: OT.440.2.2020 „Opracowanie dotyczące oceny zasadności wprowadzenia zmian w zapisach programu polityki zdrowotnej pn. „Program badań przesiewowych noworodków w Rzeczypospolitej Polskiej na lata 2019-2022”, data ukończenia: grudzień 2020 r.

Inne wykorzystane źródła danych, oprócz wyżej wskazanych;

1. Opinie przedstawicieli pacjentów przedstawione w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.