



**Opinia Prezesa
Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
nr 79/2017 z dnia 19 kwietnia 2017 r.
o projekcie programu polityki zdrowotnej pn. „Program wczesnego
wykrywania wad rozwojowych „Zacznijmy razem podróż do
bardziej przyjaznego i włączającego świata”” realizowany przez
województwo podkarpackie**

Po zapoznaniu się z opinią Rady Przejrzystości pozytywnie opiniuję projekt programu polityki zdrowotnej Program wczesnego wykrywania wad rozwojowych „Zacznijmy razem podróż do bardziej przyjaznego i włączającego świata” pod warunkiem uwzględnienia poniższych uwag.

Uzasadnienie

Projekt programu polityki zdrowotnej zakłada prowadzenie wczesnej diagnostyki i terapii zaburzeń ze spektrum autyzmu u dzieci. Zaplanowane interwencje stanowią spójną całość i mogą stanowić wartość dodaną do obecnie funkcjonujących świadczeń. Należy jednak wskazać, że część elementów projektu wymaga doprecyzowania.

Cele programowe opracowano poprawnie. Mierniki efektywności należy doprecyzować pod kątem narzędzi które zostaną wykorzystane. Konieczne jest także zestawienie uzyskanych danych ze stanem przed wprowadzeniem programu, gdyż odnotowana zmiana świadczyć będzie wielkości uzyskanego efektu.

Część dotyczącą populacji docelowej należy uzupełnić i doprecyzować. Należy wskazać w jaki sposób oszacowana została populacja docelowa oraz jaka jest przewidywana liczba uczestników programu w zakresie poszczególnych interwencji.

Interwencje zostały zaplanowane poprawnie. Biorąc jednak pod uwagę rozbieżności w dostępnych rekomendacjach co do zasadności prowadzenia przesiewu ze względu na możliwe wyniki fałszywie dodatnie konieczne jest informowanie rodziców o możliwym wyniku testów oraz prowadzenie (zgodnie z opiniami ekspertów klinicznych) dwustopniowego procesu diagnostycznego. W zakresie działań terapeutycznych należy doprecyzować, które z wymienionych metod zostaną wykorzystane w programie, mając na uwadze, że nie wszystkie z nich mają swoje odzwierciedlenie w wytycznych klinicznych. Działania programowe powinny być interwencjami o potwierdzonej skuteczności i bezpieczeństwie.

Ponadto sugeruje się, aby w projekcie jasno określić harmonogram prowadzonych działań oraz ewentualne przechodzenie uczestników pomiędzy poszczególnymi etapami programu.

Monitorowanie i ewaluacja zostały opracowane poprawnie. Warto zwrócić uwagę, aby ewaluacja programu była procesem długofalowym.

Budżet programu nie zawiera niezbędnych informacji, które pozwoliłyby na jego weryfikację. Ze względu na brak liczby potencjalnych uczestników nie wiadomo, czy zaplanowana kwota jest



wystarczająca na przeprowadzenie wszystkich interwencji. Ponadto niejasny jest oszacowany koszt działań edukacyjnych, co należy doprecyzować.

Przedmiot opinii

Przedmiotem opinii jest projekt programu polityki zdrowotnej z zakresu wczesnego wykrywania zaburzeń ze spektrum autyzmu. Budżet programu przeznaczony na jego realizację wynosi 15 000 000 PLN, zaś okres obserwacji to lata 2017-2020.

Opinia Prezesa Agencji została przygotowana w oparciu o ocenę technologii medycznej proponowanej w ramach programu polityki zdrowotnej zgodnie z kryteriami zawartymi w art. 31a ust. 1 i art. 48 ust. 4 ustawy o świadczeniach wraz z oceną założeń projektu programu polityki zdrowotnej, które wspierają efektywność kliniczną i kosztową technologii medycznej planowanej w programie.

Ocena projektu programu polityki zdrowotnej

Znaczenie problemu zdrowotnego

Projekt programu polityki zdrowotnej dotyczy zaburzeń ze spektrum autyzmu (ASD). Problem zdrowotny został opisany szczegółowo i poprawnie.

Zakres programu wpisuje się w jeden z priorytetów zdrowotnych MZ4: „zapobieganie, leczenie i rehabilitacja zaburzeń psychicznych”, jak również w cel operacyjny nr 3 Narodowego Programu Zdrowia na lata 2016-2020, tj. profilaktykę problemów zdrowia psychicznego i poprawę dobrostanu psychicznego społeczeństwa.

W projekcie odniesiono się także do epidemiologii omawianego problemu zdrowotnego w skali globalnej i krajowej.

Należy podkreślić, że w Polsce nie ma dokładnych informacji statystycznych dot. rozpowszechnienia autyzmu. Za reprezentatywne przyjmuje się wyniki badań z innych krajów Europy. Rozpowszechnienie zaburzeń ze spektrum autyzmu ocenia się więc na ok. 1%. Autyzm jak wspomniano już wcześniej jest zaburzeniem rozwojowym, w związku z czym jego obraz zmienia się wraz z wiekiem. Szacuje się, że blisko 20% dzieci z tym rozpoznaniem funkcjonuje prawidłowo w wieku dorosłym. Jednak na dokładne rokowania co do choroby mają wpływ tzw. choroby towarzyszące.

Cele i efekty programu

Głównym celem programu jest „zapobieganie zdrowotnym i społecznym skutkom późno wykrytego autyzmu, poprzez zwiększenie o minimum 10% w ciągu 4 lat trwania projektu liczby wczesnie diagnozowanych i poddanych kompleksowej terapii dzieci w wieku 0-4 lat w woj. podkarpackim”. Cel ten spełnia wszystkie założenia zasady SMART, wg której powinien on być m.in. szczegółowy, mierzalny, osiągalny, istotny i terminowy. Niejasna jest jednak metodologia oszacowanej zmiany procentowej uwzględnionej w ww. celu, co wdrożyć należy. Przedstawiono również zestawienie celów szczegółowych, które powinny być uzupełnieniem dla głównego założenia. Zostały one poprawnie sformułowane dla każdego z etapów organizacji programu.

Mierniki efektywności zostały nieprecyzyjnie określone. Odniesiono się co prawda do licznych kwestionariuszy i narzędzi pomiaru w zakresie badań skryningowych i diagnostycznych, jednak nie określono czy wszystkie z nich zostaną wykorzystane. Za zasadne wskazuje się uwzględnienie i wskazanie potencjalnych mierników adekwatnych do postawionych założeń w programie, jak np. liczba diagnoz wraz z określeniem wieku dziecka w momencie postawienia diagnozy i porównanie ze wskaźnikami z lat poprzednich. Biorąc pod uwagę złożoność zaplanowanych interwencji w projekcie programu i różnych oczekiwań, co do jego realizacji, zasadnym jest rozbudowanie części programu dotyczącej pomiaru jego efektywności. Niezmiernie ważne jest porównanie poziomu funkcjonowania/wyników pacjenta przed diagnozą funkcjonalną i po okresie działań rehabilitacyjnych w programie.

W projekcie zakłada się pomiar poziomu wiedzy osób korzystających z działań edukacyjnych w ramach programu, nie załącza jednak stosownego narzędzia umożliwiającego wykonanie merytorycznej analizy ww. zadania. Należy zaznaczyć, że ważne jest aby wartości ww. wskaźników efektywności określane były przed i po realizacji programu. Dopiero uzyskana zmiana w zakresie tych wartości i jej wielkość stanowi o wadze uzyskanego efektu programu. W projekcie odniesiono się natomiast do ankiety ewaluacyjnej poziomu uzyskanej wiedzy w ramach prowadzonych szkoleń, ale o silnym, subiektywnym charakterze, nie weryfikującym potencjalnej wiedzy uczestnika.

Populacja docelowa

Populację docelową projektu programu można podzielić na bezpośrednią, której dotyczą badania przesiewowe, diagnostyka oraz adekwatne postępowanie terapeutyczne, jak również pośrednią która zostanie objęta działaniami informacyjno-edukacyjnymi.

Populację bezpośrednią stanowią więc wszystkie dzieci w wieku 0 do 4 lat z placówek objętych programem na terenie woj. podkarpackiego. Jednak do diagnostyki i terapii zostaną zakwalifikowane osoby ze zweryfikowanym podejrzeniem zaburzeń ze spektrum autyzmu lub stwierdzonym już rozpoznaniem w tym zakresie. Wstępnie szacuje się, że na terenie woj. podkarpackiego z problemem ASD może zmagać się blisko 640 dzieci w danej grupie wiekowej. Nie wskazano jednak potencjalnej liczby uczestników programu, co należy uzupełnić.

Należy dodać, że z punktu widzenia odnalezionych wytycznych/rekomendacji oraz opinii eksperckich, działania w kierunku ASD powinny być podejmowane w jak najmłodszej populacji (głównie poniżej 3 roku życia) celem rozpoczęcia wczesnej interwencji, która wpływa na zmniejszenie liczby potencjalnych symptomów, poprawę jakości życia, zwiększenia szans na samodzielne i niezależne funkcjonowanie (z możliwością podjęcia pracy zarobkowej) i tym samym zmniejszenia kosztów związanych z udzielanymi świadczeniami. W związku z powyższym, grupa wiekowa populacji docelowej uwzględniona w projekcie jest określona prawidłowo.

Populację pośrednią programu stanowią będą rodzice/opiekunowie prawni dzieci, nauczyciele i opiekunowie pracujący w przedszkolach, żłobkach, jak również personel medyczny. Nie oszacowano dokładnej liczebności osób możliwych do zakwalifikowania do udziału w programie.

Jak wskazują wytyczne National Autism Center (NAC 2015) czy American Academy of Child and Adolescent Psychiatry (AACAP 2014) personel świadczący usługi terapeutyczne w ASD, musi być odpowiednio przeszkolony w danym kierunku i aktualizować na bieżąco swoją wiedzę i umiejętności. Natomiast rodzice/opiekunowie prawni dzieci z ASD odgrywają bardzo istotną rolę we wczesnym rozpoznawaniu zaburzeń, jak również w podtrzymywaniu efektu terapeutycznego. Jak podkreślają aktualne wytyczne SIGN 2016 należy rozważyć interwencje z udziałem rodziców/opiekunów pacjentów z podejrzeniem lub stwierdzonym ASD. Ponadto, powinno się oferować edukację i wsparcie rodziców/opiekunów celem nabycia odpowiednich umiejętności do pracy z dzieckiem z ASD. Dlatego też uwzględnienie szkoleń i instruktaży w populacji pośredniej, tj. wśród rodziców/opiekunów prawnych dzieci, nauczycieli i wychowawców pracujących w przedszkolach, żłobkach, personelu medycznego, uznaje się za uzasadnione.

W projekcie wskazano również dokładne kryteria włączenia i wyłączenia z programu. Potencjalni uczestnicy programu zostaną poinformowani o jego realizacji poprzez szeroko rozbudowaną kampanię informacyjną uwzględniającą zarówno rozpowszechnienie materiałów akcydensowych jak i informacje przekazywane bezpośrednio rodzicom/opiekunom dzieci.

Interwencja

Wśród zaplanowanych interwencji wymienia się:

1. działania informacyjno-edukacyjne, tj. stworzenie Informatora nt. zaburzeń ASD z wykazem placówek świadczących usługi na rzecz osób z ASD na terenie województwa, rozszerzenie działalności istniejących punktów konsultacyjnych dla rodziców/opiekunów dzieci z ASD, szkolenia dla specjalistów uczestniczących w procesie diagnostyki i leczenia dziecka z ASD, instruktaże prowadzone przez kadrę medyczną dla pracowników żłobków/przedszkoli, szkolenia/instruktaże dla rodziców/opiekunów dzieci z ASD;

2. badanie przesiewowe w kierunku ASD wykonywane przez lekarzy/pielęgniarki POZ (szczególnie lekarzy pediatrów) podczas obowiązkowych bilansów zdrowia (narzędzia przesiewowe Checklist for Autism in Toddlers - CHAT);
3. pogłębioną diagnostykę i postępowanie terapeutyczne u dzieci z ASD, z zastosowaniem narzędzi przesiewowych i diagnostycznych – Modified-Checklist for Autism in Toddlers (M-CHAT) oraz Quantitative Checklist for Autism in Toddlers (Q-CHAT), Autism Diagnostic Interview-Revised (ADI-R) oraz Autism Diagnostic Observation Schedule (ADOS-2); szybką i intensywną interwencję terapeutyczną oraz odpowiednio dostosowany plan terapii oparty na wczesnym wspomaganie rozwoju oraz kontynuacji terapii w domu rodzinnym w ramach specjalistycznych usług opiekuńczych (SUO).

Działania te wydają się tworzyć swego rodzaju system opieki kompleksowej dla dzieci z ASD, jak również system wsparcia dla rodzin osób z danym zaburzeniem. Dodatkowo planuje się doposażenie istniejących już na terenie woj. punktów konsultacyjnych w kierunku ASD oraz zatrudnienie dodatkowej kadry specjalistycznej.

Ad. 1

W projekcie wyznaczono szczegółowy zakres zaplanowanych szkoleń i instruktaży we wskazanej populacji, który pokrywa się z zaleceniami towarzystw naukowych. Dodatkowo w ramach programu zostanie stworzony i wydany Informator, w którym będą zawarte niezbędne informacje na temat autyzmu - występowania, specyfiki, charakteru i zakresu wsparcia dostępnego w ramach opieki zdrowotnej, edukacji i pomocy społecznej, jak również zamieszczony zostanie wykaz placówek świadczących usługi na rzecz osób z ASD na terenie województwa podkarpackiego. Działanie to jest również zgodne ze stanowiskiem ekspertów klinicznych.

Wytyczne podkreślają, że niezbędnym składnikiem wielu interwencji opartych na dowodach naukowych skoncentrowanych na populacji małych dzieci z ASD są szkolenia, edukacja i swego rodzaju poradnictwo skierowane do rodziców ww. dzieci. Powinny być one ukierunkowane na problematykę w zakresie komunikacji rodzic-dziecko, ale również mieć na celu zwiększenie zrozumienia problemu, uwrażliwienie na problem, umiejętności reagowania, komunikowania się i interakcji z chorym dzieckiem.

Ponadto wytyczne SIGN 2016 podkreślają, że edukacja celem nabycia odpowiednich umiejętności w kierunku ASD powinna być oferowana dla rodziców dzieci w wieku przedszkolnym (poniżej 5 r.ż.). Z kolei, pracownicy ochrony zdrowia powinni oferować stosowną informację na temat ASD swoim pacjentom oraz ich rodzinom w sposób zrozumiały i przystępny.

Centers for Disease Control and Prevention (CDC 2010) sugeruje, iż krótkotrwała edukacja zdrowotna, czy jednokrotne działanie może nie być wystarczające do osiągnięcia trwałego i wymiernego efektu w utrzymaniu wypracowanych zachowań i wiedzy populacji poddanej edukacji. W projekcie nie jest jasne czy szkolenia dla rodziców/opiekunów/wychowawców dzieci z ASD zostaną przeprowadzone jednorazowo, czy też planuje się ich rokroczną kontynuację.

Ad. 2

W projekcie zaplanowano badania przesiewowe w populacji ogólnej poniżej 4 r.ż. prowadzone podczas tzw. bilansów zdrowotnych dzieci w tej grupie wiekowej w ściśle określonych terminach. Badania te mają być przeprowadzane przez wcześniej przeszkolonych lekarzy pediatrów w zakresie m.in. stosowania narzędzi przesiewowych CHAT. W projekcie wskazuje się na wykorzystanie narzędzi Modified-Checklist for Autism in Toddlers (M-CHAT) oraz Quantitative Checklist for Autism in Toddlers (Q-CHAT).

W kwestii badań przesiewowych w kierunku zaburzeń ze spektrum autyzmu w populacji ogólnej, szczególnie wśród dzieci poniżej 4 roku życia, wytyczne są zróżnicowane. Zgodnie ze stanowiskiem USPSTF 2016, UK NSC 2012 oraz SIGN 2016, przesiew w grupie ogólnej, a szczególnie od 18 m. ż. do 30 m. ż. nie jest interwencją rekomendowaną ze względu na wysokie ryzyko wyników fałszywie ujemnych i fałszywie dodatnich. Natomiast Grupa Robocza powołana w ramach Forum Autyzmu oraz AAP (2015) potwierdza zasadność przesiewu specyficznego dla ASD w grupie dzieci od 18 do 24 m.ż.

pomimo wysokiego odsetka wyników fałszywie dodatnich. Sugeruje również, że w grupie młodszych dzieci skryning może mieć charakter informacyjny (APS, Young 2016; AAP 2007-2013).

Z kolei, eksperci kliniczni sugerują, że wzorcowy program polityki zdrowotnej powinien zawierać: dwustopniowe badania przesiewowe, diagnostykę specjalistyczną w kierunku ASD, opiekę terapeutyczną dla dzieci ze zdiagnozowanym ASD oraz wsparcie psychologiczno-edukacyjne dla ich rodzin. Sygnalizują, że pierwszy stopień przesiewu powinien dot. wszystkich dzieci od 16 do 30 m.ż. pomimo ryzyka uzyskania wyników fałszywie dodatnich, powodujących stres i niepokój rodzica oraz narażenie dziecka na dalszy proces diagnostyczny (często tego typu przesiew może wykryć inne istotne zmiany rozwojowe, które wymagają wczesnej interwencji).

Obecnie dostępna jest nowa, skrócona wersja danego kwestionariusza, tj. M-CHAT-R/F (Robins i in. 2014), gdzie poprzez regularną obserwację dziecka w wieku 16-30 m. ż. rodzice wypełniając dany kwestionariusz złożony z 20 pytań mogą przyczynić się do oceny ryzyka wystąpienia autyzmu u swojego dziecka (narzędzie dwustopniowe). Narzędzie to w porównaniu z pierwotną wersją M-CHAT spowodowało zwiększenie wykrywalności ASD w populacji ogólnej (z 45 na 67 przypadków/10 tys. osób). W związku z powyższym być może, warto rozważyć zastosowanie zaktualizowanej wersji ww. narzędzia przesiewowego, która podobnie jak MCHAT jest ogólnodostępna, zaadaptowana do warunków polskich.

Zgodnie z powyższym mimo licznych wątpliwości w kwestii skryningu w kierunku ASD, większość ekspertów klinicznych zaleca dwustopniowe podejście do badań przesiewowych, czego nie zaplanowano w projekcie. Pierwszy stopień przesiewu powinien dot. wszystkich dzieci od 16 do 30 m. ż. pomimo ryzyka uzyskania wyników fałszywie pozytywnych, natomiast drugi stopień badań przesiewowych zalecany jest u dzieci z niepokojącymi objawami w rozwoju psychicznym. Jak wskazują wytyczne AACAP 2014 należy stosować tylko standaryzowane narzędzia przesiewowe. Zarówno eksperci kliniczni, jak i odnalezione wytyczne są zgodne co do kwalifikowania dzieci z podejrzeniem ASD do oceny diagnostycznej i rozwojowej, a następnie do stosownej terapii.

Ad.3

Etap ten uwzględnia dokładną diagnostykę przeprowadzoną przez zespół terapeutyczny, który posiada kwalifikacje potwierdzone odpowiednimi certyfikatami i/lub terapeuci, którzy przejdą specjalistyczne szkolenia w zakresie narzędzi diagnostycznych w ramach programu (z wykorzystaniem narzędzi: Q-CHAT, M-CHAT, ADOS-2, ADI-R). Postępowanie diagnostyczne będzie wdrażane w placówkach posiadających kontrakt z Narodowym Funduszem Zdrowia (NFZ).

Jak wskazują eksperci kliniczni diagnostyka specjalistyczna powinna być przeprowadzana z wykorzystaniem wystandaryzowanych metod diagnostycznych dla dzieci, które w badaniach przesiewowych drugiego stopnia wykazały zagrożenie autyzmem. Powinna być podzielona na wiele etapów, na który składają się m.in. wywiad, testy diagnostyczne, analiza dokumentacji, nagrań filmowych oraz powinna być powtarzana wielokrotnie - np. na różnych etapach rozwoju czy po okresie terapii lub ze względu na zmiany w zakresie kryteriów klasyfikacji zaburzeń neurorozwojowych (jak np. zmiana w DSM-V). Zaplanowane narzędzia diagnostyczne nie budzą zastrzeżeń.

W projekcie szczegółowo przedstawiono potencjalny plan postępowania terapeutycznego, który pozostaje w zgodzie z odnalezionymi wytycznymi i stanowiskiem ekspertów klinicznych. Wątpliwości budzi jednak przedstawiana kwestia możliwych do wykorzystania rodzajów działań terapeutycznych, wśród których wymienia się m.in.:

- terapię behawioralną (ABA),
- metodę Relationship Development Intervention (RDI) oraz Growing Minds,
- model rozwojowy uwzględniający indywidualne różnice, oparty na budowaniu relacji; nawiązanie z dzieckiem relacji sprzyjających nauce na jego poziomie (model DIR i metodę Floortime),
- Positive Behaviour Support (PBS),

- Early Start Denver Model (model EDSM),
- terapię „Holding”,
- model Treatment and Education of Autistic and Related Communication Handicapped Children (TEACCH),
- trening umiejętności społecznych,
- System Komunikacji przez Wymianę Symboli (PECS),
- podejście PYRAMID,
- metodę opcji Barry'ego
- metodę integracji sensorycznej,
- terapię logopedyczną,
- zmodyfikowaną metodę dobrego startu,
- metodę symulowanych seryjnych powtórzeń,
- metodę ruchu rozwijającego,
- muzykoterapię,
- psychoedukację,
- techniki niedyrektywne,
- strukturalizowane nauczanie,
- terapię poznawczo-behawioralną
- grupy trening umiejętności społecznych.

Wskazano co prawda, że ostatecznie za wybór stosowanej terapii i metod w niej uwzględnionych odpowiedzialny będzie indywidualny koordynator terapeutyczny każdego z uczestników, jednak niektóre wymieniane w projekcie rodzaje terapii nie są zalecanymi w populacji dzieci z ASD i należy mieć to również na uwadze.

Należy zaznaczyć, że zgodnie z najnowszymi zaleceniami National Autism Center metoda DIR czy Floortime, terapia ruchem czy integracja sensoryczna nie są rekomendowane ze względu na zbyt małą liczbę dowodów naukowych potwierdzających ich skuteczność.

Wytyczne singapurskie oraz nowozelandzkie sugerują, że terapia Holdingu podobnie jak metoda opcji ze względu na brak skuteczności lub brak dowodów oraz potencjalne ryzyko działań niepożądanych lub nadużycia, nie jest zalecana u dzieci z ASD. Z kolei, metody wspomagającej i alternatywnej komunikacji, metoda RDI, model EDSM, muzykoterapia, System Komunikacji przez Wymianę Symboli, uczenie ustrukturyzowane i metoda TEACCH, trening teorii umysłu, PBS, metoda dobrego startu są interwencjami obiecującymi, jednak niezbędne są dalsze badania w kierunku ich skuteczności lub wnikliwe działanie i obserwacja potencjalnego terapeuty w trakcie ewentualnego ich wdrażania.

Warto podkreślić, że wśród zalecanych działań znajdują się właśnie interwencje behawioralne oraz poznawczo-behawioralne, wczesne intensywne terapię behawioralną (EIBI), treningi językowe – logopedyczne, treningi umiejętności społecznych czy terapie uwzględniające udział rodziców oraz rówieśników dzieci z ASD.

Podobnie wytyczne American Occupational Therapy Association oraz Association for Science in Autism Treatment rekomendują wdrażanie treningów/programów szkoleniowych umiejętności społecznych opartych na odpowiedniej ocenie klinicznej i kontekstowej (diagnostyka funkcjonalna), treningów PECS oraz analizy behawioralnej. Należy podkreślić, że większość odnalezionych dowodów naukowych wskazuje terapię behawioralną, wczesną, intensywną interwencję behawioralną oraz terapię poznawczo-behawioralną, jako główne i skuteczne metody leczenia osób z ASD.

Należy mieć jednak na uwadze, że na skuteczność wdrażanej terapii u dzieci/młodzieży z ASD znaczący wpływ mogą mieć: wiek pacjenta (im wcześniej rozpoczęta terapia, tym szybsza i większa poprawa), osoba terapeuty (jego doświadczenie) oraz stan wyjściowy dziecka - umiejętności językowe, komunikacyjne i społeczne.

Odnalezione wytyczne nie odnoszą się w sposób precyzyjny do dokładnego czasu trwania poszczególnych interwencji w ocenianym projekcie. Podkreślają jedynie, że najbardziej efektywne są interwencje terapeutyczne w skali 1:1, a więc o silnie zindywidualizowanym charakterze. Natomiast w przypadku zajęć grupowych, nie powinna ona przekraczać czterech osób włącznie z prowadzącym terapię. Podkreśla się także, że dzieciom z potwierdzoną diagnozą autyzmu powinno się dostarczać od 20-25 do 40 godzin zajęć interwencji behawioralnej tygodniowo, a im wcześniejsze rozpoczęcie terapii tym lepsze są jej efekty. Kontynuacja zajęć terapeutycznych powinna być dostosowana do potrzeb pacjenta i jego rodziny, o czym wspominają również autorzy projektu programu.

Należy dodać, że zgodnie z Rozporządzeniem MZ z dn. 6 listopada 2013 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu opieki psychiatrycznej i leczenia uzależnień, w Polsce realizowane są porady kompleksowo-konsultacyjne dla osób z autyzmem dziecięcym, udzielane przez przynajmniej dwie osoby z zespołu specjalistów i obejmujące m.in. zebranie wywiadu, badanie stanu psychicznego i somatycznego, badanie psychologiczne (w razie potrzeby z zastosowaniem specjalistycznych testów), instruktaż i psychoedukację dla rodzin, konsultacje dla osób sprawujących opiekę nad dziećmi w placówkach, prowadzące do ustalenia rozpoznania, diagnozy funkcjonalnej, zaleceń w formie indywidualnego programu terapeutyczno-rehabilitacyjnego i wydania zaświadczenia i opinii w formie pisemnej. Jednak biorąc pod uwagę, że na terenie woj. podkarpackiego funkcjonuje 1 placówka medyczna świadcząca ww. usługi, a zgodnie z Ogólnopolskim Informatorem o Czasie Oczekiwania na Świadczenie Medyczne NFZ, kolejka oczekujących do poradni z autyzmem dziecięcym wynosi 740 osób, a średni czas oczekiwania w dniach na usługę to ok. 384 dni, czyli powyżej 1 roku, świadczenie uwzględnione w ramach programu mogą być uznane za uzupełnienie i zwiększenie dostępności do świadczeń gwarantowanych.

Oprócz postępowania diagnostycznego i terapeutycznego, w projekcie uwzględniono również kwestię doposażenia istniejących już punktów konsultacyjnych w ramach opieki nad pacjentami z ASD, na terenie miast powiatowych w województwie. Dodatkowo rozważa się możliwość zatrudnienia odpowiedniej kadry specjalistycznej. Ze względu na niską dostępność placówek świadczących usługi w zakresie opieki nad osobami z zaburzeniami ze spektrum autyzmu na terenie całego województwa, kwestia ta nie budzi zastrzeżeń i została precyzyjnie w projekcie opisana.

Monitorowanie i ewaluacja

Projekt programu uwzględnia opis jego monitorowania i ewaluacji. W precyzyjny sposób zaplanowano ocenę zgłaszalności do programu, ocenę jego jakości oraz świadczonych w jego ramach usług, jak również ocenę efektywności programu opartej o stosowne mierniki efektywności.

Każdy z potencjalnych realizatorów programu zobowiązany będzie do składania sprawozdań stanowiących podsumowanie analizy mierników efektywności z całego okresu trwania projektu. Jak wspomniano wcześniej pomiar efektywności programu poprzez zastosowanie odpowiednich skal i narzędzi kwestionariuszowych uznaje się za zasadny, jednak ważne jest wyszczególnienie konkretnych mierników, które mogą zostać uwzględnione w danym programie.

Należy również podkreślić, że zgodnie z założeniami prawidłowo przygotowanej ewaluacji badane rezultaty jak np. działań terapeutycznych, powinny być obserwowane w długim okresie czasu. Warto również rozważyć funkcję koordynatora monitorowania i ewaluacji programu, gdyż w kontekście licznej grupy potencjalnych realizatorów projektu oraz szerokiego spektrum przewidzianych działań interwencyjnych, kontrola nad przebiegiem danego procesu wydaje się być niezbędną.

Warunki realizacji

Wybór głównych realizatorów programu odbędzie się na drodze konkursu ofert, co pozostaje w zgodzie z zapisami ustawowymi. Dokładnie opisano wymagania wobec potencjalnych realizatorów.

Mimo dokładnie przedstawionych etapów realizacji programu, w projekcie brakuje szczegółowego harmonogramu działań w rozbiu na poszczególne lata. Mając na uwadze to, że program jest 4 letni, zasadne wydaje się przedstawienie takiego harmonogramu działań. Sposób realizacji usług w programie został w projekcie jednoznacznie określony. Nie jest jednak jasne czy potencjalny uczestnik programu może zrezygnować z udziału w nim na każdym etapie. Nie wiadomo też czy dany rodzaj terapii stosowany w ramach programu będzie możliwy do kontynuacji w ramach świadczeń gwarantowanych poza programem.

W projekcie programu przedstawiono szacunkowe zestawienie kosztów jednostkowych przeliczonych na jednego uczestnika programu, koszty realizacji poszczególnych działań w programie oraz koszt całkowity jego wdrożenia. Oszacowania te nie budzą zastrzeżeń.

Niejednoznaczna jest jednak kwestia ostatecznej liczby wdrażanych interwencji, liczebności populacji docelowej uwzględnionej w programie oraz rodzaju zastosowanych interwencji. Elementy te mogą znacząco wpłynąć na przedstawiony kosztorys. Wątpliwości budzi również oszacowany koszt działań informacyjno-edukacyjnych, z jednej strony przedstawiono kwotę łączną 3 milionów złotych na cały okres realizacji programu, z drugiej natomiast w „podziale kosztów całkowitych” to samo działanie zostało wycenione na blisko 3,5 mln zł. Należy wyjaśnić dane rozbieżności.

Koszt całkowity zaplanowanych interwencji został oszacowany na 15 mln złotych, z czego 85% zostanie pokryte ze środków Europejskiego Funduszu Społecznego w ramach Regionalnego Programu Operacyjnego Województwa Podkarpackiego na lata 2014-2020, 15% wartości RPZ pokryje budżet Państwa, a w tym 5% stanowić będzie wkład własny beneficjenta danych usług.

Wnioski z oceny technologii medycznej przeprowadzonej przez Agencję

Problem zdrowotny

Zaburzenia ze spektrum autyzmu(ASD) jako jednorodna kategoria diagnostyczna, która ,oże zgodnie z daną dotyczyć blisko 1 na 60-100 osób wśród dzieci i młodzieży, tj. ok. 1% wspomnianej populacji.

Wyróżnia się dwa podstawowe wymiary psychopatologiczne, tj. upośledzenie komunikacji i interakcji społecznych oraz stereotypowe/ograniczone zachowania/zainteresowania. Deficyty te diagnozuje się już we wczesnym dzieciństwie.

Objawy, ale i etiologia danego zaburzenia jest bardzo zróżnicowana. Wskazuje się, że ASD ma mocne podłoże genetyczne, ale nie wyklucza się również wpływu czynników biologicznych i środowiskowych. Jednak istnieje wiele teorii opisujących mechanizmy kształtowania się zaburzeń autystycznych. Diagnozę stawia się zazwyczaj w oparciu o dokładny wywiad, obserwację pacjenta i badanie kliniczne. W leczeniu spektrum autyzmu stosuje się przede wszystkim intensywną terapię behawioralną, ale i farmakoterapię, szczególnie w przypadku chorób/zaburzeń współistniejących.

Alternatywne świadczenia

Postępowanie diagnostyczno-terapeutyczne u dzieci/młodzieży do 18 r.ż., jak również psychoedukacja rodziców/opiekunów prawnych uwzględnione są w Rozporządzeniu MZ z dn. 6 listopada 2013 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu opieki psychiatrycznej i leczenia uzależnień. W ramach wspomnianego aktu prawnego realizowane są: program terapeutyczno-rehabilitacyjny, porada kompleksowo-konsultacyjna dla osób z autyzmem dziecięcym oraz turnusy rehabilitacyjne (nie częściej niż raz na rok), realizowane w warunkach ambulatoryjnych psychiatrycznych i leczenia środowiskowego (domowego).

Ocena technologii medycznej

W toku wyszukiwania odnaleziono wytyczne:

- U.S. Preventive Services Task Force (USPSTF 2016),
- UK The National Autism Center (UK NSC 2012)
- Scottish Intercollegiate Guidelines Network (SIGN 2007,2016),
- Australian Department of Human Services/ National Autism Center (AMS-MOH 2010),

- Australian Psychological Society (APS, Young 2016),
- Grupa Robocza powołana w ramach Forum Autyzmu, American Academics of Paediatrics (AAP 2007-2013, Zwaigenbaum 2015),
- American Academy Of Child & Adolescent Psychiatry (AACAP 2014),
- he National Institute for Health and Care Excellence (NICE 2013, 2011),
- New Zealand Ministry of Health and Education (NZMOH 2008)
- Australian Department of Human Services/ National Autism Center (ADoHS 2016/ NAC 2015),
- Association for Science in Autism Treatment (ASAT 2016),
- American Occupational Therapy Association (AOTA 2016).

Badania przesiewowe/diagnostyczne w kierunku zaburzeń ze spektrum autyzmu:

Większość wytycznych wskazuje, że badanie przesiewowe dzieci od 18 m.ż. do 30 m.ż., poniżej 5 r.ż. oraz w populacji ogólnej bez zgłaszanych obaw, co do ryzyka wystąpienia danego zaburzenia nie jest zalecane. Dowody w tym kierunku są niewystarczające lub istnieje wysokie ryzyko wystąpienia wyników fałszywie dodatnich i ujemnych mogących opóźnić właściwą diagnozę. AMS-MOH 2010 zaleca skryning w kierunku ASD tylko w grupach wysokiego ryzyka. Zauważyć należy, że Grupa Robocza powołana w ramach Forum Autyzmu oraz AAP (2015) potwierdza zasadność przesiewu specyficznego dla ASD w grupie dzieci od 18 do 24 m. ż. pomimo wysokiego odsetka wyników fałszywie dodatnich. Sugeruje, iż w grupie młodszych dzieci skryning może mieć charakter informacyjny. Dzieci z podejrzeniem ASD poprzez badania przesiewowe powinny być skierowane do oceny diagnostycznej i rozwojowej, a następnie do stosownej terapii.

Rodzeństwo pacjentów z ASD powinno być poddane obserwacji ze względu na podwyższone ryzyko wystąpienia ASD i innych zaburzeń rozwojowych (Zwaigenbaum 2015).

Australian Psychological Society (Young 2016) rekomenduje, do wykorzystania we wczesnej diagnostyce ASD, narzędzie Autism Detection in Early Childhood (ADEC). Wśród stosowanych w standardowej praktyce narzędzi przesiewowych wymienia też m.in: BISCUIT, Childhood Autism Rating Scale, SRS-2, Screening Tool for Autism in Two-Year-Olds. Natomiast każde z narzędzi przesiewowych powinno być zaadaptowane do norm lokalnych, w danym społeczeństwie.

AACAP 2014 rekomenduje by ocena rozwojowa małych dzieci i ocena psychiatryczna wszystkich dzieci obejmowała rutynowy wywiad w kierunku potencjalnych objawów ASD. Wskazuje, że badania przesiewowe/diagnostyczne powinny być ukierunkowane na weryfikację podstawowych objawów ASD, w tym dot. więzi społecznych czy powtarzalności nietypowych zachowań. Zaleca się stosowanie wystandaryzowanych narzędzi. Jeśli badanie przesiewowe wskazuje na obecność podstawowych symptomów ASD, należy wdrożyć ocenę diagnostyczną potencjalnego pacjenta w kierunku ASD.

Rozpoznanie i diagnoza ASD u dzieci i młodzieży powinna być wykonywana przez wielodyscyplinarne zespoły ASD, które mogą obejmować: pediatrę, psychiatrę dziecięcego, logopedę, psychologa czy terapeutę zajęciowego.

Ocena poprzedzająca decyzję o potrzebach terapeutycznych powinna dostarczyć szczegółowych informacji na temat problemów behawioralnych, emocjonalnych oraz psychicznych, uwzględnić diagnostykę różnicową, weryfikację stanu zdrowia i ocenę aspektów środowiskowych.

Z kolei, eksperci kliniczni sugerują, że wzorcowy program polityki zdrowotnej powinien zawierać: dwustopniowe badania przesiewowe, diagnostykę specjalistyczną w kierunku ASD, opiekę terapeutyczną dla dzieci ze zdiagnozowanym ASD oraz wsparcie psychologiczno-edukacyjne dla ich rodzin. Sygnalizują, że pierwszy stopień przesiewu powinien dot. wszystkich dzieci od 16 do 30 m.ż. pomimo ryzyka uzyskania wyników fałszywie dodatnich, powodujących stres i niepokój rodzica oraz narażenie dziecka na dalszy proces diagnostyczny (często tego typu przesiew może wykryć inne istotne zmiany rozwojowe, które wymagają wczesnej interwencji).

Wczesna diagnostyka i postępowanie terapeutyczne:

Zaleca się ocenę diagnostyczną wraz z uwzględnieniem mocnych i słabych stron poszczególnych pacjentów z podejrzeniem ASD, przez interdyscyplinarny i doświadczony zespół specjalistów z umiejętnościami niezbędnymi do wykonania danej oceny. Na ocenę specjalistyczną składa się: wywiad, kliniczna obserwacja i uzyskanie szerszych informacji kontekstowych w kierunku diagnozy funkcjonalnej.

Zastosowanie wczesnej interwencji w populacji dzieci z autyzmem jest bardzo istotne, ale trzeba brać pod uwagę możliwości i preferencje najbliższych pacjenta, uwzględniać mocne i słabe strony dziecka, jego wiek oraz etap rozwoju. Najbardziej efektywne są interwencje w skali 1:1, o silnie zindywidualizowanym charakterze, najlepiej od 20-25 do 40 godz. zajęć tygodniowo. Z kolei eksperci kliniczni podkreślają, iż terapia powinna być wdrożona w odpowiedniej intensywności od ok. 25 do 30-40 godzin terapii w tygodniu. Należy rozważyć interwencje z udziałem rodziców/opiekunów pacjentów z podejrzeniem lub stwierdzonym ASD. Powinno się oferować edukację i wsparcie rodziców/opiekunów celem nabycia odpowiednich umiejętności do pracy z dzieckiem z ASD. Szkolenia te powinny mieć na celu zwiększenie zrozumienia problemu, uwrażliwienie na problem, umiejętności reagowania, komunikowania się i interakcji z chorym dzieckiem.

Jak wskazują eksperci kliniczni diagnostyka specjalistyczna powinna być przeprowadzana z wykorzystaniem wystandaryzowanych metod diagnostycznych dla dzieci, które w badaniach przesiewowych drugiego stopnia wykazały zagrożenie autyzmem. Powinna być podzielona na wiele etapów, na który składają się m.in. wywiad, testy diagnostyczne, analiza dokumentacji, nagrań filmowych oraz powinna być powtarzana wielokrotnie - np. na różnych etapach rozwoju czy po okresie terapii lub ze względu na zmiany w zakresie kryteriów klasyfikacji zaburzeń neurorozwojowych (jak np. zmiana w DSM-V).

Do interwencji zalecanych w odseparowanych wytycznych należą m.in.: interwencje behawioralne i poznawczo-behawioralne (jak np. EIBI), treningi językowe – funkcjonalne, modelowanie i wideo modelowanie, naturalistyczne strategie uczenia, treningi/szkolenia rodziców, treningi dla rówieśników, treningi umiejętności kluczowych (PRT), planowanie/scenariusze, treningi samodzielności i samokontroli, treningi umiejętności społecznych, interwencje oparte na określonej historii.

Wśród interwencji obiecujących wymienia się: metodę AAC, podejście rozwojowe oparte na relacji (np. metoda RDI czy model ESDM), ćwiczenia fizyczne, desensytyzacja, trening komunikacji funkcjonalnej, naśladownictwo, trenowanie inicjowania kontaktu, trening językowy (ale uwzględniający zarówno element produkcji, jak i rozumienia języka), terapie masażem, stymulacja czucia głębokiego, pakiety wieloczynnikowe, muzykoterapię, system PECS, pakiet redukcyjny, wykorzystanie języka migowego, interwencje nakierowane na komunikację społeczną, uczenie ustrukturyzowane (metoda TEACCH;), interwencje oparte na technologii (m.in. gry komputerowe) oraz trening oparty na teorii umysłu.,

Dzieci i młodzież z ASD mogą korzystać z terapii zajęciowej czy terapii integracji sensorycznej, ale należy zachować szczególną ostrożność, gdyż brak jest jednoznacznych dowodów na skuteczność ww. metod. Pediatrizy powinni być świadomi istnienia ograniczonej liczby dowodów naukowych odnoszących się do skuteczności stosowania interwencji opartych na integracji sensorycznej wśród dzieci z zaburzeniami rozwojowymi i behawioralnymi i informować o tym rodziców.

Nie zaleca się w populacji osób z ASD interwencji takich jak: terapia ze zwierzętami, treningi integracji słuchowej, mapowanie myśli, metoda DIR/Floortime, metody ułatwionej komunikacji, dieta restrykcyjna: bezmleczna/bezglutenowa, terapia ruchem (np. choreoterapia), treningi oparte o dramę, pakiety interwencji sensorycznych, terapia wstrząsowa, społeczno-behawioralne strategie uczenia się, interwencje społeczno-poznawcze, interwencja „social thinking”. NICE 2013 dodatkowo podkreśla, że niezasadne jest stosowanie: leczenia sekretyną lub chelatacji, leków przeciwpsychotycznych, przeciwdepresyjnych, przeciwdrgawkowych, tlenoterapii hiperbarycznej (przy podstawowych cechach, założeniach zaburzeń ze spektrum autyzmu), neurofeedbacku w zaburzeniach języka i mowy, suplementacji kwasów Omega-3 (w problemach ze snem).

Farmakoterapia może być stosowana, ale tylko w zachowaniach trudnych, destrukcyjnych lub podczas poważnych chorób współistniejących.

Personel świadczący usługi terapeutyczne w ASD, np. terapię EIBI, musi być odpowiednio przeszkolony w danym kierunku i aktualizować na bieżąco swoją wiedzę i umiejętności.

Biorąc pod uwagę powyższe argumenty, opiniuję, jak na wstępie.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48a ust. 1 i 3 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2015 r., poz. 581), z uwzględnieniem raportu: OT.441.1.2017 „Program wczesnego wykrywania wad rozwojowych „Zacznijmy razem podróż do bardziej przyjaznego i włączającego świata”” realizowany przez: Województwo podkarpackie, Warszawa, kwiecień 2017 oraz Aneksem: „Wczesna diagnostyka i terapia zaburzeń ze spektrum autyzmu (ASD) wspólne podstawy oceny” z kwietnia 2017 r. oraz Opinii Rady Przejrzystości nr 92/2017 z dnia 18 kwietnia 2017 roku o projekcie programu „Program wczesnego wykrywania wad rozwojowych „Zacznijmy razem podróż do bardziej przyjaznego i włączającego świata” (woj. podkarpackie)