



Protokół nr 3/2012
z posiedzenia Rady Przejrzystości
w dniu 22 lutego 2012 roku
w siedzibie Agencji Oceny Technologii Medycznych

Członkowie Rady Przejrzystości (Rada) obecni na posiedzeniu:

[Redacted names of council members present]

Nieobecni na posiedzeniu członkowie Rady:

[Redacted names of council members absent]

Pracownicy Agencji Oceny Technologii Medycznych (AOTM):

[Redacted names of AOTM staff]
[Redacted names of AOTM staff] (Dział Obsługi Rady Konsultacyjnej RK)
[Redacted names of AOTM staff] (Dział Programów Zdrowotnych w Wydziale Oceny Technologii Medycznych)
[Redacted names of AOTM staff]
[Redacted names of AOTM staff]
[Redacted names of AOTM staff]
[Redacted names of AOTM staff]

Lista obecności stanowi załącznik nr 1 do niniejszego protokołu.

Porządek obrad:

1. Otwarcie posiedzenia.
2. Omówienie i zatwierdzenie porządku obrad.
3. Omówienie konfliktów interesów członków Rady i głosowanie nad ich wyłączeniem z głosowania albo z udziału w zakresie omawianego wniosku.
4. Przygotowanie opinii w sprawie wydania z urzędu decyzji o objęciu refundacją leku przy danych klinicznych, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego w zakresie produktu leczniczego zawierającego substancję czynną pegfilgrastim we wskazaniu profilaktyka pierwotna i wtórna neutropenii w czasie chemioterapii o ryzyku wystąpienia gorączki neutropenicznej powyżej 20% oraz w uzasadnionych przypadkach u chorych z



niższym ryzykiem, w szczególności u chorych poddawanych chemioterapii o założeniu radykalnym, dla którego wydano decyzję o objęciu refundacją, o której mowa w ustawie z dnia 12.05.2011r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych.

5. Przygotowanie opinii o projektach programów zdrowotnych:

- „Narodowy Program Profilaktyki i Edukacji Diabetologicznej”;
- „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania cukrzycy typu 2”;
- „Profilaktyka cukrzycy i promocja zdrowia w cukrzycy w gminie Polkowice”.

6. Zamknięcie posiedzenia.

Ad.1. Posiedzenie o godzinie 10:00 otworzył [REDAKTOR]
[REDAKTOR] prowadzący posiedzenie.

Na wstępie, [REDAKTOR] poinformował zebranych o mającym się odbyć w późnych godzinach popołudniowych w Ministerstwie Zdrowia zebraniu w sprawie listy leków refundowanych mającej obowiązywać od 1 marca 2012 r., w efekcie którego, może się okazać, że do listy trzeba będzie dopisać jeszcze jakieś leki. Oznaczać to może konieczność zwołania kolejnego nadzwyczajnego posiedzenia Rady w piątek 24 lutego, w związku z czym prosi o przeprowadzenie na wszelki wypadek w dniu dzisiejszym losowania Zespołu.

[REDAKTOR] zaproponował również, aby członkowie Rady biorący udział w posiedzeniu potraktowali piątkowe spotkanie, jako drugą część dzisiejszego posiedzenia. Po krótkiej dyskusji, członkowie Rady odrzucili tę propozycję, ponieważ nie jest możliwe, aby wszyscy obecni stawili się w tym samym składzie w piątek. Propozycja nie zyskała również aprobaty członków Rady z powodów finansowych.

Losowanie składu Zespołu na wypadek konieczności zwołania w trybie pilnym nadzwyczajnego posiedzenia, członkowie Rady postanowili przeprowadzić na końcu posiedzenia.

Ad.2. Rada w drodze głosowania przyjęła jednogłośnie propozycję porządku posiedzenia przedstawioną przez prowadzącego [REDAKTOR].

W tym miejscu, głos zabrał członek Rady, który stwierdził, że Rada nie powinna się w ogóle zajmować tematem objętym pkt. 4 porządku obrad, ponieważ robiła to już dwukrotnie i rekomendacje w tej sprawie były już wydane w ubiegłym roku, a od 1 stycznia 2012 r. nie zmieniło się nic w rozpoznaniu refundacyjnym tego leku. Ponadto dodał, że wskazania te nie są wskazaniami nieokreślonymi w ChPL, w związku z czym zlecenie jest bezprzedmiotowe.

[REDAKTOR] stwierdził, że nie widzi żadnych uchybień w procedowaniu.

Prowadzący posiedzenie zarządził odłożenie dyskusji na później, zgodnie z porządkiem obrad.

Ad.3. Konflikty interesów zgłosili:

- 1) [REDAKTOR], który w wyniku głosowania: 0 głosów za wyłączeniem – nie został wyłączony z prac i głosowania nad tematem objętym punktem 4 porządku obrad;
- 2) [REDAKTOR], który w wyniku głosowania: 0 głosów za wyłączeniem – nie został wyłączony z prac i głosowania nad tematem objętym punktem 5 porządku obrad.

Ad.4. [REDAKTOR] na podstawie prezentacji przedstawiła najistotniejsze informacje z opracowania pt. „Pegfilgrastimum (Neulasta) we wskazaniu: profilaktyka pierwotna i wtórna neutropenii w czasie chemioterapii o ryzyku występowania neutropenicznej

gorączki powyżej 20% oraz w uzasadnionych przypadkach u chorych z niższym ryzykiem, w szczególności u chorych poddawanych chemioterapii o założeniu radykalnym”.

Ponieważ jeden z członków Rady stwierdził, że ze zlecenia wynika, że nie jest to zastosowanie off-label i dotyczy wyłącznie chorych onkologicznie, którzy i tak są już w tej grupie - [REDAKTOR] wyjaśnił szczegółowo, czego konkretnie dotyczy zlecenie Ministra Zdrowia.

Część członków Rady stwierdziła, że jest to rozszerzenie grupy docelowej, inni wyrażali odmienne zdanie uważając, że jest to zawężenie możliwości stosowania leku.

Następnie przeprowadzona została telekonferencja z ekspertem, [REDAKTOR] [REDAKTOR] który dopuszczony do udziału w telekonferencji pomimo niezłożenia Deklaracji konfliktu interesów, przedstawił swoje stanowisko i odpowiadał na pytania członków Rady.

W dalszym ciągu posiedzenia kontynuowano dyskusję nad omawianym tematem.

Decyzją prowadzącego posiedzenie sformułowanie uchwały i głosowanie zostało przesunięte do rozpatrzenia po rozpoznaniu tematu objętego punktem 5 porządku obrad.

Ad.5. [REDAKTOR] na podstawie prezentacji przedstawiła ogólne informacje dotyczące problemów zdrowotnych z zakresu profilaktyki i wczesnego wykrywania cukrzycy i jej powikłań. W dalszym ciągu wystąpienia przekazała szczegółowe uwagi do poszczególnych projektów programów zdrowotnych tj.:

- 1) z Raportu nr: AOTM-OT-441-108/2011 „Projekt Miejskiego Programu Profilaktyki i Wczesnego Wykrywania Cukrzycy (typu 2)” realizowany przez: Gminę miejską Pruszcz Gdański (ocena projektu programu);
- 2) z Raportu nr: AOTM-OT-441-152/2011 „Profilaktyka cukrzycy i promocja zdrowia w cukrzycy w gminie Polkowice” realizowany przez: Gminę Polkowice (ocena projektu programu);
- 3) z Raportu nr: AOTM-OT-440-4/2011 „Narodowy Program Profilaktyki i Edukacji Diabetologicznej na rok 2012” realizowany przez: Ministerstwo Zdrowia (ocena projektu programu).

Z kolei swoje zdanie na temat omawianych projektów programów zdrowotnych przedstawił prowadzący temat [REDAKTOR].

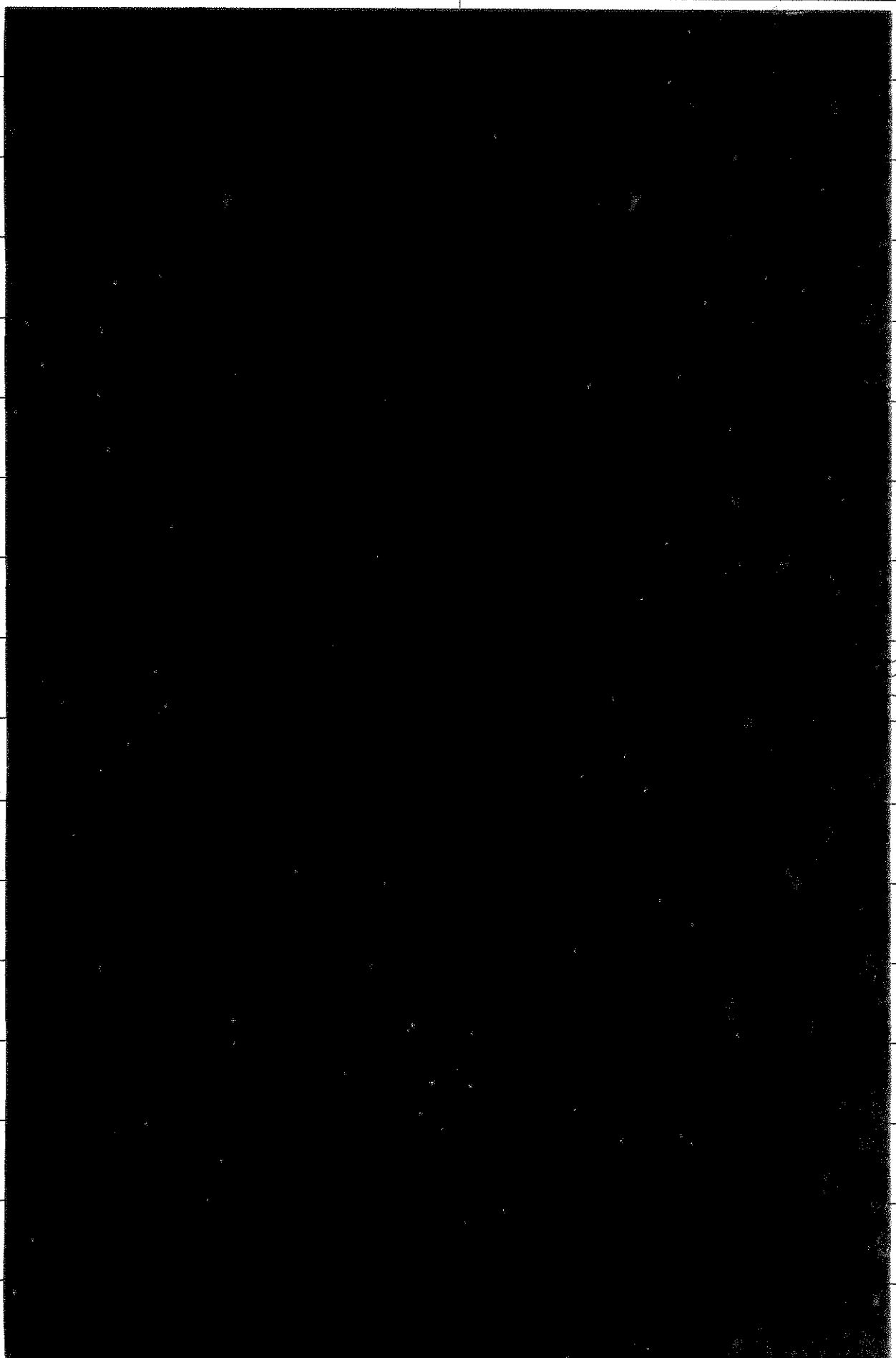
Następnie przeprowadzona została telekonferencja w sprawie projektu programu zdrowotnego pt. „Narodowy Program Profilaktyki i Edukacji Diabetologicznej na rok 2012” z zaproszonym ekspertem [REDAKTOR], który przedstawił swoje stanowisko i odpowiadał na pytania członków Rady.

Wreszcie, prowadzący posiedzenie otworzył dyskusję nad omawianym tematem.

Po zakończeniu rzeczowej dyskusji Rada, przyjęła uchwały o następującej treści:

- 1) w wyniku głosowania: 7 głosów za, 0 przeciw
 - Rada wydaje pozytywną opinię o „Projekcie Miejskiego Programu Profilaktyki i Wczesnego Wykrywania Cukrzycy (typu 2)” realizowanym przez gminę miejską Pruszcz Gdański pod warunkami:
 - zawężenia populacji do ludzi w wieku ponad 45 lat lub ponad 40 lat, z co najmniej 1 czynnikiem ryzyka,
 - określenia trybu i kryteriów wyboru realizatora programu,

LISTA OBECNOŚCI
Posiedzenie Rady Przejrzystości nr 3/2012
dnia 22 lutego 2012 r.

Lp.	Imię i nazwisko	Podpis
1.		
2.		
3.		
4.		
5.		
6.		
7.		
8.		
9.		
10.		
11.		
12.		
13.		
14.		
15.		
16.		
17.		

18.	[Redacted]
19.	[Redacted]
20.	[Redacted]
	[Redacted]
	[Redacted]
	[Redacted]
	[Redacted]
	[Redacted]
	[Redacted]
	[Redacted]
	[Redacted]
	[Redacted]
	[Redacted]
	[Redacted]
	[Redacted]
	[Redacted]
	[Redacted]



Opinia Rady Przejrzystości
nr 12/2012 z dnia 22 lutego 2012
o programie zdrowotnym „Projekt Miejskiego Programu Profilaktyki i
Wczesnego Wykrywania Cukrzycy (typu 2)” realizowanym przez
gminę miejską Pruszcz Gdański

Rada wydaje pozytywną opinię o „Projekcie Miejskiego Programu Profilaktyki i Wczesnego Wykrywania Cukrzycy (typu 2)” realizowanym przez gminę miejską Pruszcz Gdański pod warunkami:

1. zawężenia populacji do ludzi w wieku ponad 45 lat lub ponad 40 lat z co najmniej 1 czynnikiem ryzyka,
2. określenia trybu i kryteriów wyboru realizatora programu,
3. określenia sposobu monitorowania realizacji programu.

Przedmiot opinii

„Projekt Miejskiego Programu Profilaktyki i Wczesnego Wykrywania Cukrzycy (typu 2)” realizowany przez gminę miejską Pruszcz Gdański.

Cele główne:

- wczesne wykrycie cukrzycy, co winno przyczynić się do zmniejszenia powikłań oraz obniżenia zachorowalności i umieralności z powodu cukrzycy i jej powikłań
- obniżenie zachorowalności i umieralności z powodu cukrzycy i obniżenie natężenia czynników ryzyka, głównie poprzez promowanie zdrowego stylu życia.

Interwencje:

- Wywiad i ocena ryzyka,
- Badanie poziomu glukozy we krwi na czczo,
- W zależności od wyniku: skierowanie na konsultacje diabetologiczne lub wydanie zaleceń profilaktycznych.

Populacja: mieszkańcy miasta od 40 roku życia, u których dotychczas nie rozpoznano cukrzycy. W 2010 roku gminę miejską Pruszcz Gdański zamieszkiwało 11 271 osób po 40 roku życia.

Problem zdrowotny

Cukrzyca to grupa chorób metabolicznych, których wspólną charakterystyczną cechą kliniczną jest podwyższone stężenie glukozy we krwi (hiperglikemia). Przyczyną podwyższonego stężenia glukozy we krwi może być niedostateczne wydzielanie insuliny lub upośledzone działanie insuliny bądź współistnienie obu tych mechanizmów. Konsekwencją



jest zaburzony metabolizm węglowodanów, tłuszczów i białek oraz zwiększone stężenie glukozy we krwi. Przewlekła hiperglikemia wiąże się z uszkodzeniem, zaburzeniem czynności i niewydolnością różnych narządów, szczególnie oczu, nerek, nerwów, serca i naczyń krwionośnych.

Obecnie obowiązuje następujący podział cukrzycy (przyjęty za American Diabetes Association, ADA):

- cukrzyca typu 1 – polega na niszczeniu komórek beta trzustki, które są odpowiedzialne za produkcję oraz wydzielanie insuliny (hormonu obniżającego stężenie glukozy we krwi). Jedynym sposobem leczenia jest podawanie insuliny, odpowiednia dieta oraz wysiłek fizyczny;
- cukrzyca typu 2 – stanowi 90-95% wszystkich przypadków tej choroby. Charakteryzuje się insulinoopornością i względnym (a nie jak w cukrzycy typu 1 – bezwzględny) niedoborem insuliny. : Względny niedobór oznacza, że wydzielanie insuliny jest zachowane, ale niedostatecznie w stosunku do potrzeb, z uwagi na zmniejszoną wrażliwość (oporność) tkanek na jej działanie. Organizm wytwarza coraz większe ilości insuliny, ale są one dla niego niewystarczające. W późniejszym okresie choroby dochodzi do wyczerpania zapasów insuliny. Najczęściej temu typowi towarzyszy otyłość oraz nadciśnienie tętnicze. Leczenie opiera się na właściwej diecie, wysiłku fizycznym oraz doustnych lekach hipoglikemizujących;
- cukrzyca ciężarnych – rozpoznana po raz pierwszy w ciąży oraz trwająca do momentu urodzenia dziecka. W grupie tych kobiet istnieje wysokie ryzyko zachorowania na cukrzycę w przyszłości. Leczenie powinno być prowadzone w wyspecjalizowanych ośrodkach ginekologiczno – diabetologicznych, z udziałem neonatologa.

Wyróżnia się ponadto dwa stany z podwyższonym stężeniem glukozy, które nie spełniają jednak kryteriów rozpoznania cukrzycy: nieprawidłowe stężenie glukozy na czczo (IFG) oraz nieprawidłową tolerancję glukozy (IGT). Ponieważ oba te stany wskazują na duże ryzyko rozwoju cukrzycy, nazywa się je „stanami przedcukrzycowymi”, a w zaleceniach ADA zaproponowano określenie „kategorie zwiększonego ryzyka wystąpienia cukrzycy”. Oba stany są ponadto czynnikami ryzyka rozwoju chorób sercowo-naczyniowych.

Do najważniejszych czynników ryzyka rozwoju cukrzycy należą: starszy wiek, otyłość (większość chorych na cukrzycę typu 2), mała aktywność fizyczna. Czynniki te sprzyjają wystąpieniu insulinooporności, która objawia się zaburzeniami metabolizmu węglowodanów, hiperinsulinemią, nadciśnieniem tętniczym oraz zaburzeniami metabolizmu lipidów.

Ryzyko rozwoju cukrzycy jest także zwiększone u: osób z nadciśnieniem tętniczym, osób z zaburzeniami lipidowymi, osób z cukrzycą w wywiadzie rodzinnym, kobiet z cukrzycą ciążową ciężarnych w wywiadzie, a także w niektórych grupach etnicznych (np. Indianie, Azjaci, Afrykanie).

Alternatywne świadczenia

Nie dotyczy.

Wnioski z oceny przeprowadzonej przez Agencję

- Oceniany projekt jest propozycją programu z zakresu profilaktyki drugorzędowej, mającego na celu wczesne wykrywanie cukrzycy.
- Choć projekt odnosi się do konkretnie zdefiniowanych interwencji, brakuje w nim wielu informacji, m. in. trybu wyboru realizatora, kryteriów wyboru realizatora, sposobu informowania o programie.

- W projekcie nie zostały opisane wskaźniki monitorowania realizacji programów oraz jego efektów. Aby stwierdzić, czy program realizuje cele, należałoby przez długi okres monitorować, czy u uczestników programu doszło do rozwoju powikłań, monitorować zachorowalność oraz śmiertelność z powodu cukrzycy, a także porównać wyniki z realizacji programu z sytuacją przed jego realizacją. Należałoby przede wszystkim monitorować liczbę osób, u których wykryto cukrzycę, a także wyniki fałszywie dodatnie oraz fałszywie ujemne.
- Brakuje informacji dotyczącej przewidywanej liczby uczestników programu.
- Nie jest jasne, kto będzie prowadził wywiad i ocenę ryzyka wśród uczestników programu (np. lekarz, pielęgniarka).
- Brakuje opisu struktury wydatków w ramach projektu (nie wiadomo, ile środków zostanie przeznaczonych na informowanie o programie, ile na wynagrodzenie osób realizujących program, ile na same badania).
- Autorzy programu zakładają, że udział w nim wezmą osoby powyżej 40 roku życia, u których nie zdiagnozowano cukrzycy. Z odnalezionych wytycznych, a także opinii eksperckich wynika, iż skryning w kierunku cukrzycy powinno się prowadzić u osób powyżej 45 roku życia lub u osób powyżej 40 roku życia, u których dodatkowo występuje przynajmniej jeden czynnik ryzyka. Tylko wytyczne kanadyjskie zalecają prowadzenie skryningu w kierunku cukrzycy typu 2 u osób powyżej 40 roku życia. Na podstawie odnalezionych dowodów naukowych można wnioskować, że populacja do objęcia programem zdrowotnym powinna zostać doprecyzowana.
- Autorzy projektu planują przeprowadzić badanie poziomu glukozy we krwi na czczo – jest to badanie rekomendowane przez różne instytucje, jako badanie przesiewowe w kierunku cukrzycy. Jest to również badanie, jakie może wykonać lekarz podstawowej opieki zdrowotnej w ramach świadczeń zdrowotnych finansowanych ze środków publicznych.
- Na podstawie przeglądów systematycznych, przeprowadzonych na potrzeby zaleceń klinicznych, stwierdzono brak przekonujących dowodów bezpośrednio wskazujących, że wczesna kontrola cukrzycy wykrytej w wyniku skryningu przynosi inkrementalne korzyści w odniesieniu do mikronaczyniowych klinicznych punktów końcowych, w porównaniu do rozpoczęcia leczenia po rozpoznaniu klinicznym w ramach standardowej opieki. O potencjalnych korzyściach z wczesnego wykrywania i leczenia cukrzycy wnioskuje się pośrednio na podstawie badań dotyczących wpływu różnych interwencji leczniczych na efekty zdrowotne osób z cukrzycą rozpoznaną klinicznie, nie w ramach skryningu, oraz niekorzystnego profilu ryzyka chorób sercowo-naczyniowych stwierdzonego u osób z nowozdiagnozowaną cukrzycą. Wobec braku dowodów wskazujących bezpośrednio na efektywność programów skryningowych w kierunku cukrzycy, nie jest możliwe pewne stwierdzenie ich efektywności kosztowej. Dostępne analizy ekonomiczne wykorzystujące różnego rodzaju techniki modelowania sugerują, że skryning w kierunku cukrzycy typu 2 skierowany do określonych populacji może być kosztowo-efektywny. Analizy te w głównej mierze odnosiły się do skryningu oportunistycznego. Mimo braku bezpośrednich dowodów na efektywność kliniczną w osiąganiu twardych punktów końcowych (np. umieralność) i kosztową, czynne wykrywanie niezdiagnozowanej cukrzycy wśród osób

z podwyższonym ryzykiem cukrzycy jest powszechnie zalecane. Większość wytycznych zaleca prowadzenie skryningu oportunistycznego w warunkach podstawowej opieki zdrowotnej u osób, u których na podstawie przeprowadzonej oceny stwierdzi się podwyższone ryzyko wystąpienia cukrzycy. Zwykle rozpowszechnianie informacji o ryzyku wystąpienia cukrzycy oraz dostępnych strategiach redukcji ryzyka jest niewystarczające do odwrócenia epidemii cukrzycy typu 2. Dla skutecznej prewencji istotne jest stworzenie warunków środowiskowych, które sprzyjałyby osiągnięciu i utrzymaniu zdrowego stylu zdrowia. Dodatkowo na podstawie odnalezionych informacji można stwierdzić, że treningu mające na celu nauczanie samoopieki w cukrzycy są skuteczne w odniesieniu do osób chorujących. W celu zapobiegania powikłaniom cukrzycy pod postacią cukrzycowej choroby nerek, powinno się raz do roku wykonywać badania kontrolne u chorych na cukrzycę typu II. W trakcie wizyty powinno się określać czynniki ryzyka, a także badać poziom stężenia kreatyniny oraz albumin w moczu. Skryning w kierunku retinopatii cukrzycowej powinien być zagwarantowany i dostępny dla wszystkich chorych na cukrzycę bez względu czy pozostają pod opieką lekarza, lub są pacjentami szpitala. Kompleksowa edukacja dotycząca stopy cukrzycowej, powinna być dostępna dla wszystkich chorych na cukrzycę w czasie diagnozy, a następnie w razie potrzeby na podstawie aktualnej sytuacji.

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

.....
[Redacted signature block]

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48 ust. 2a ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, z uwzględnieniem raportu „Projekt Miejskiego Programu Profilaktyki i Wczesnego Wykrywania Cukrzycy (typu 2)” realizowany przez: Gminę miejską Pruszcz Gdański, nr: AOTM-OT-441-108/2011, Warszawa, luty 2012 i aneksu „Programy zdrowotne z zakresu profilaktyki i wczesnego wykrywania cukrzycy – wspólne podstawy oceny”, Aneks do raportów nr: AOTM-OT-441-108/2011, AOTM-OT-441-152/2011, AOTM-OT-440-4/2011, Warszawa, luty 2012.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 11/2012 z dnia 22 lutego 2012
o programie zdrowotnym „*Profilaktyka cukrzycy i promocja zdrowia
w cukrzycy w gminie Polkowice*”

*Rada wydaje pozytywną opinię o projekcie programu zdrowotnego
„Profilaktyka cukrzycy i promocja zdrowia w cukrzycy w gminie Polkowice” pod
warunkiem:*

- 1. określenia i zawężenie populacji,*
- 2. właściwej oceny efektów programu.*

Przedmiot opinii

Program „Profilaktyka cukrzycy i promocja zdrowia w cukrzycy w gminie Polkowice” realizowany przez gminę Polkowice

- Cel główny: Zapobieganie oraz wczesne wykrywanie cukrzycy typu 2 oraz ograniczenie występowania powikłań.
- Cele szczegółowe: zdiagnozowanie środowiska pod kątem występowania cukrzycy, monitorowanie poziomu glukozy we krwi, edukacja zdrowotna (podniesienie świadomości zdrowotnej w zakresie czynników ryzyka cukrzycy, motywowanie do zdrowego stylu życia itp.), zapobieganie powikłaniom cukrzycy, podjęcie działań ograniczających dalszy rozwój cukrzycy, dotarcie do mieszkańców wsi i miasta, współpraca ze stowarzyszeniem diabetyków.

Interwencje:

- Edukacja,
- Pomiar poziomu cukru we krwi, hemoglobiny glikowanej,
- Konsultacje lekarskie diabetologiczne.

Populacja: Dostęp do programu będą mieli wszyscy mieszkańcy gminy Polkowice, bez względu na wiek i płeć. Organizatorzy przewidują udział ok. 1 400 osób, co stanowi ok 5% populacji mieszkańców gminy Polkowice.

Problem zdrowotny

Cukrzyca to grupa chorób metabolicznych, których wspólną charakterystyczną cechą kliniczną jest podwyższone stężenie glukozy we krwi (hiperglikemia). Przyczyną podwyższonego stężenia glukozy we krwi może być niedostateczne wydzielanie insuliny lub upośledzone działanie insuliny bądź współistnienie obu tych mechanizmów. Konsekwencją jest zaburzony metabolizm węglowodanów, tłuszczów i białek oraz zwiększone stężenie glukozy we krwi. Przewlekła hiperglikemia wiąże się z uszkodzeniem, zaburzeniem czynności



i niewydolnością różnych narządów, szczególnie oczu, nerek, nerwów, serca i naczyń krwionośnych.

Obecnie obowiązuje następujący podział cukrzycy (przyjęty za American Diabetes Association, ADA):

- cukrzyca typu 1 – polega na niszczeniu komórek beta trzustki, które są odpowiedzialne za produkcję oraz wydzielanie insuliny (hormonu obniżającego stężenie glukozy we krwi). Jedynym sposobem leczenia jest podawanie insuliny, odpowiednia dieta oraz wysiłek fizyczny;
- cukrzyca typu 2 – stanowi 90-95% wszystkich przypadków tej choroby. Charakteryzuje się insulinoopornością i względnym (a nie jak w cukrzycy typu 1 – bezwzględnym) niedoborem insuliny. : Względny niedobór oznacza, że wydzielanie insuliny jest zachowane, ale niedostatecznie w stosunku do potrzeb, z uwagi na zmniejszoną wrażliwość (oporność) tkanek na jej działanie. Organizm wytwarza coraz większe ilości insuliny, ale są one dla niego niewystarczające. W późniejszym okresie choroby dochodzi do wyczerpania zapasów insuliny. Najczęściej temu typowi towarzyszy otyłość oraz nadciśnienie tętnicze. Leczenie opiera się na właściwej diecie, wysiłku fizycznym oraz doustnych lekach hipoglikemizujących;
- cukrzyca ciężarnych – rozpoznana po raz pierwszy w ciąży oraz trwająca do momentu urodzenia dziecka. W grupie tych kobiet istnieje wysokie ryzyko zachorowania na cukrzycę w przyszłości. Leczenie powinno być prowadzone w wyspecjalizowanych ośrodkach ginekologiczno – diabetologicznych, z udziałem neonatologa.

Wyróżnia się ponadto dwa stany z podwyższonym stężeniem glukozy, które nie spełniają jednak kryteriów rozpoznania cukrzycy: nieprawidłowe stężenie glukozy na czczo (IFG) oraz nieprawidłową tolerancję glukozy (IGT). Ponieważ oba te stany wskazują na duże ryzyko rozwoju cukrzycy, nazywa się je „stanami przedcukrzycowymi”, a w zaleceniach ADA zaproponowano określenie „kategorie zwiększonego ryzyka wystąpienia cukrzycy”. Oba stany są ponadto czynnikami ryzyka rozwoju chorób sercowo-naczyniowych.

Do najważniejszych czynników ryzyka rozwoju cukrzycy należą: starszy wiek, otyłość (większość chorych na cukrzycę typu 2), mała aktywność fizyczna. Czynniki te sprzyjają wystąpieniu insulinooporności, która objawia się zaburzeniami metabolizmu węglowodanów, hiperinsulinemią, nadciśnieniem tętniczym oraz zaburzeniami metabolizmu lipidów.

Ryzyko rozwoju cukrzycy jest także zwiększone u: osób z nadciśnieniem tętniczym, osób z zaburzeniami lipidowymi, osób z cukrzycą w wywiadzie rodzinnym, kobiet z cukrzycą ciążową ciężarnych w wywiadzie, a także w niektórych grupach etnicznych (np. Indianie, Azjaci, Afrykanie).

Alternatywne świadczenia

Nie dotyczy.

Wnioski z oceny przeprowadzonej przez Agencję

- Oceniany projekt jest propozycją programu z zakresu profilaktyki pierwszorzędowej oraz drugorzędowej, mającego na celu wczesne wykrywanie cukrzycy oraz zapobieganie jej wystąpieniu. Program ma również na celu zapobieganie dalszemu rozwojowi choroby u osób ze zdiagnozowaną cukrzycą.
- Program adresowany jest do wszystkich mieszkańców gminy Polkowice bez względu na wiek i płeć. Choć autorzy zastrzegają, iż mieszkańcy mogą wziąć udział w programie w określonych przypadkach (cukrzyca lub stan przedcukrzycowy, ryzyko zachorowania na cukrzycę (otyłość, nadwaga, nadciśnienie tętnicze, obciążenia

genetyczne i inne), powikłania cukrzycy, osoby biorące udział w badaniach przesiewowych), określenie populacji docelowej jako „osoby biorące udział w badaniach przesiewowych” jest zbyt ogólne. Na podstawie odnalezionych dowodów naukowych można wnioskować, że populacja do objęcia programem zdrowotnym powinna zostać doprecyzowana.

- Autorzy planują objąć działaniami jedynie 5% populacji (ok. 1 400 osób). A będą to zarówno osoby biorące udział w skryningu, jak i osoby z już zdiagnozowaną cukrzycą. Nie jest jasne, ile osób weźmie udział w skryningu, ile osób weźmie udział w monitorowaniu leczenia cukrzycy, a ile osób w edukacji.
- Pomimo tego iż program zakłada monitorowanie realizacji i efektywności programu, wskaźniki te można by było uzupełnić np. o liczbę wyników fałszywie dodatnich i fałszywie ujemnych. Aby program realizował cele, należałoby monitorować jego efekty w długim okresie i obserwować, u jakiej liczby osób doszło do rozwoju powikłań, a następnie liczbę tę porównać z sytuacją sprzed wprowadzenia programu. To samo odnosi się do kosztów leczenia cukrzycy. Z informacji zawartych w projekcie wynika, iż dzięki programowi realizowanemu w poprzednich latach udało się wykryć u 60% osób stany przedcukrzycowe, a także stwierdzić, że tylko 30% osób leczonych z powodu cukrzycy jest leczonych prawidłowo. Nie została natomiast potwierdzona liczba osób z nowo zdiagnozowaną cukrzycą, ze względu na kierowanie osób z podejrzeniem choroby do dalszej diagnostyki w podstawowej opiece zdrowotnej. Zważywszy na fakt, iż wczesne wykrywanie cukrzycy jest celem głównym programu, należałoby położyć większy nacisk na zdobycie tych danych, zwłaszcza że jest to jeden z mierników efektywności wymieniany przez autorów.
- Projekt oprócz badań przesiewowych oraz mających na celu kontrolę leczenia cukrzycy, zakłada również prowadzenie edukacji w zakresie profilaktyki cukrzycy dla chorych i ich rodzin. Edukacja dotycząca profilaktyki cukrzycy ma sens w przypadku członków rodzin – o ile są osobami zdrowymi, ale wydaje się bezcelowa w przypadku osób chorujących na cukrzycę. Edukacja adresowana do osób ze zdiagnozowaną cukrzycą powinna być skierowana na profilaktykę powikłań cukrzycy.
- Interwencje planowane w projekcie są rekomendowane przez szereg towarzystw naukowych. Warto jednak podkreślić, że badania jakie mają być wykonywane w ramach programu, pozostają do dyspozycji lekarza podstawowej opieki zdrowotnej i są finansowane ze środków publicznych.
- Koszty jednostkowe wydają się niedoszacowane.
- Na podstawie przeglądów systematycznych, przeprowadzonych na potrzeby zaleceń klinicznych, stwierdzono brak przekonujących dowodów bezpośrednio wskazujących, że wczesna kontrola cukrzycy wykrytej w wyniku skryningu przynosi inkrementalne korzyści w odniesieniu do mikronaczyniowych klinicznych punktów końcowych, w porównaniu do rozpoczęcia leczenia po rozpoznaniu klinicznym w ramach standardowej opieki. O potencjalnych korzyściach z wczesnego wykrywania i leczenia cukrzycy wnioskuje się pośrednio na podstawie badań dotyczących wpływu różnych interwencji leczniczych na efekty zdrowotne osób z cukrzycą rozpoznaną klinicznie, nie w ramach skryningu, oraz niekorzystnego profilu ryzyka chorób sercowo-naczyniowych stwierdzonego u osób z nowozdiagnozowaną cukrzycą. Wobec braku

dowodów wskazujących bezpośrednio na efektywność programów skryningowych w kierunku cukrzycy, nie jest możliwe pewne stwierdzenie ich efektywności kosztowej. Dostępne analizy ekonomiczne wykorzystujące różnego rodzaju techniki modelowania sugerują, że skryning w kierunku cukrzycy typu 2 skierowany do określonych populacji może być kosztowo-efektywny. Analizy te w głównej mierze odnosiły się do skryningu oportunistycznego. Mimo braku bezpośrednich dowodów na efektywność kliniczną w osiąganiu twardych punktów końcowych (np. umieralność) i kosztową, czynne wykrywanie niezdiagnozowanej cukrzycy wśród osób z podwyższonym ryzykiem cukrzycy jest powszechnie zalecane. Większość wytycznych zaleca prowadzenie skryningu oportunistycznego w warunkach podstawowej opieki zdrowotnej u osób, u których na podstawie przeprowadzonej oceny stwierdzi się podwyższone ryzyko wystąpienia cukrzycy. Zwykle rozpowszechnianie informacji o ryzyku wystąpienia cukrzycy oraz dostępnych strategiach redukcji ryzyka jest niewystarczające do odwrócenia epidemii cukrzycy typu 2. Dla skutecznej prewencji istotne jest stworzenie warunków środowiskowych, które sprzyjałyby osiągnięciu i utrzymaniu zdrowego stylu zdrowia. Dodatkowo na podstawie odnalezionych informacji można stwierdzić, że treningu mające na celu nauczanie samoopieki w cukrzycy są skuteczne w odniesieniu do osób chorujących. W celu zapobiegania powikłaniom cukrzycy pod postacią cukrzycowej choroby nerek, powinno się raz do roku wykonywać badania kontrolne u chorych na cukrzycę typu II. W trakcie wizyty powinno się określać czynniki ryzyka, a także badać poziom stężenia kreatyniny oraz albumin w moczu. Skryning w kierunku retinopatii cukrzycowej powinien być zagwarantowany i dostępny dla wszystkich chorych na cukrzycę bez względu czy pozostają pod opieką lekarza, lub są pacjentami szpitala. Kompleksowa edukacja dotycząca stopy cukrzycowej, powinna być dostępna dla wszystkich chorych na cukrzycę w czasie diagnozy, a następnie w razie potrzeby na podstawie aktualnej sytuacji.

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

.....
[Redacted signature area]

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48 ust. 2a ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, z uwzględnieniem raportu „Profilaktyka cukrzycy i promocja zdrowia w cukrzycy w gminie Polkowice” realizowany przez: Gminę Polkowice, nr: AOTM-OT-441-152/2011, Warszawa, luty 2012 i aneksu „Programy zdrowotne z zakresu profilaktyki i wczesnego wykrywania cukrzycy – wspólne podstawy oceny”, Aneks do raportów nr: AOTM-OT-441-108/2011, AOTM-OT-441-152/2011, AOTM-OT-440-4/2011, Warszawa, luty 2012.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 13/2012 z dnia 22 lutego 2012
o programie zdrowotnym „Narodowy Program Profilaktyki i Edukacji
Diabetologicznej na rok 2012”

Rada wyraża pozytywną opinię o „Narodowym Programie Profilaktyki i Edukacji Diabetologicznej na rok 2012” pod warunkiem ograniczenia go do działań edukacyjnych.

Przedmiot opinii

„Narodowy Program Profilaktyki i Edukacji Diabetologicznej” stanowi kontynuację części zadań realizowanych od 2006 r. w ramach programu zdrowotnego pn.: „Program Prewencji i Leczenia Cukrzycy”, wchodzącego obecnie w skład programu pn.: „Narodowy Program Przeciwdziałania Chorobom Cywilizacyjnym”.

Cele programu:

- Zwiększenie świadomości i wiedzy na temat cukrzycy wśród społeczeństwa,
- Zmniejszenie występowania czynników ryzyka (zapobieganie występowania cukrzycy typu 2)
- Stworzenie skutecznych strategii zapobiegania powikłaniom związanym z leczeniem cukrzycy,
- Poprawa jakości życia osób chorych na cukrzycę.

Proponowane działania:

- Działania o charakterze profilaktyczno-informacyjnym, mające na celu zwiększenie świadomości społecznej na temat cukrzycy i jej powikłań oraz zmniejszenie liczby osób nieświadomych swojej choroby, a co za tym idzie i liczby występowania powikłań cukrzycy
- Działania polegające na szkoleniu z zakresu edukacji diabetologicznej dla pielęgniarek i położnych przygotowujące do pracy na stanowisku edukatora ds. diabetologii,
- Działania polegające na edukacji chorych na cukrzycę, ich rodzin oraz wybranych grup zawodowych.

Problem zdrowotny

Cukrzyca to grupa chorób metabolicznych, których wspólną charakterystyczną cechą kliniczną jest podwyższone stężenie glukozy we krwi (hiperglikemia). Przyczyną podwyższonego stężenia glukozy we krwi może być niedostateczne wydzielanie insuliny lub upośledzone działanie insuliny bądź współistnienie obu tych mechanizmów. Konsekwencją jest zaburzony metabolizm węglowodanów, tłuszczów i białek oraz zwiększone stężenie glukozy we krwi. Przewlekła hiperglikemia wiąże się z uszkodzeniem, zaburzeniem czynności i niewydolnością różnych narządów, szczególnie oczu, nerek, nerwów, serca i naczyń krwionośnych.



Obecnie obowiązuje następujący podział cukrzycy (przyjęty za American Diabetes Association, ADA):

- cukrzyca typu 1 – polega na niszczeniu komórek beta trzustki, które są odpowiedzialne za produkcję oraz wydzielanie insuliny (hormonu obniżającego stężenie glukozy we krwi). Jedynym sposobem leczenia jest podawanie insuliny, odpowiednia dieta oraz wysiłek fizyczny;
- cukrzyca typu 2 – stanowi 90-95% wszystkich przypadków tej choroby. Charakteryzuje się insulinoopornością i względnym (a nie jak w cukrzycy typu 1 – bezwzględnym) niedoborem insuliny. : Względny niedobór oznacza, że wydzielanie insuliny jest zachowane, ale niedostatecznie w stosunku do potrzeb, z uwagi na zmniejszoną wrażliwość (oporność) tkanek na jej działanie. Organizm wytwarza coraz większe ilości insuliny, ale są one dla niego niewystarczające. W późniejszym okresie choroby dochodzi do wyczerpania zapasów insuliny. Najczęściej temu typowi towarzyszy otyłość oraz nadciśnienie tętnicze. Leczenie opiera się na właściwej diecie, wysiłku fizycznym oraz doustnych lekach hipoglikemizujących;
- cukrzyca ciężarnych – rozpoznana po raz pierwszy w ciąży oraz trwająca do momentu urodzenia dziecka. W grupie tych kobiet istnieje wysokie ryzyko zachorowania na cukrzycę w przyszłości. Leczenie powinno być prowadzone w wyspecjalizowanych ośrodkach ginekologiczno – diabetologicznych, z udziałem neonatologa.

Wyróżnia się ponadto dwa stany z podwyższonym stężeniem glukozy, które nie spełniają jednak kryteriów rozpoznania cukrzycy: nieprawidłowe stężenie glukozy na czczo (IFG) oraz nieprawidłową tolerancję glukozy (IGT). Ponieważ oba te stany wskazują na duże ryzyko rozwoju cukrzycy, nazywa się je „stanami przedcukrzycowymi”, a w zaleceniach ADA zaproponowano określenie „kategorie zwiększonego ryzyka wystąpienia cukrzycy”. Oba stany są ponadto czynnikami ryzyka rozwoju chorób sercowo-naczyniowych.

Do najważniejszych czynników ryzyka rozwoju cukrzycy należą: starszy wiek, otyłość (większość chorych na cukrzycę typu 2), mała aktywność fizyczna. Czynniki te sprzyjają wystąpieniu insulinooporności, która objawia się zaburzeniami metabolizmu węglowodanów, hiperinsulinemią, nadciśnieniem tętniczym oraz zaburzeniami metabolizmu lipidów.

Ryzyko rozwoju cukrzycy jest także zwiększone u: osób z nadciśnieniem tętniczym, osób z zaburzeniami lipidowymi, osób z cukrzycą w wywiadzie rodzinnym, kobiet z cukrzycą ciążową ciężarnych w wywiadzie, a także w niektórych grupach etnicznych (np. Indianie, Azjaci, Afrykanie).

Alternatywne świadczenia

Nie dotyczy.

Wnioski z oceny przeprowadzonej przez Agencję

- Oceniany projekt odnosi się do programu zdrowotnego obejmujące szereg interwencji skierowanych do szerokiego grona odbiorców: osoby zdrowe, osoby chorujące na cukrzycę, pielęgniarki, uczniowie szkół, przedstawiciele wybranych zawodów.
- Odsetek populacji, jaka ma zostać objęta badaniami profilaktycznymi, jest niewielki, niemniej program przewidziano tylko na rok, z możliwością kontynuowania.
- Projekt nie zawiera kryteriów włączenia do programu. Nie są jasne zasady wyboru szkół czy poradni diabetologicznych, w których będą dystrybuowane materiały edukacyjne.
- Autorzy projektu zakładają prowadzenie szkoleń dla personelu pielęgniarskiego, dla funkcjonariuszy policji, dla chorych na cukrzycę i ich rodzin oraz dla dzieci, nie podają

jednak zakresu treści programowych, jakie będą przekazywane poszczególnym grupom odbiorców.

- Nie jest jasne, w jaki sposób zakończy się udział w programie, jeśli chodzi o osoby poddane badaniom profilaktycznym. Nie wiadomo, w jaki sposób działania przewidziane w projekcie zostaną powiązane ze świadczeniami podstawowej opieki zdrowotnej.
- Autorzy projektu sami podkreślają fakt, iż cukrzyca jest choroba cywilizacyjną, która jest ściśle związana z trybem życia i dietą, ale w programie nie znalazły się interwencje z zakresu poradnictwa dietetycznego (być może edukacja z zakresu zdrowego odżywiania i promowania aktywności fizycznej wchodzi w zakres szkoleń, czy też będzie propagowana poprzez materiały edukacyjne).
- Projekt zakłada przeprowadzenie szkoleń z zakresu pierwszej pomocy udzielanej osobom chorym na cukrzycę, adresowanych do funkcjonariuszy policji. Jednak zgodnie z zaleceniami „Nauczania Pierwszej Pomocy” pod redakcją Julisza Jakubaszki, postępowanie w stanach zagrożenia życia związanych z cukrzycą powinno być wpisane w program Rozszerzonego Kursu z Pierwszej Pomocy, który jest adresowany m. in. do funkcjonariuszy służb publicznych (Straż Miejska, Policja). Prowadzenie zatem osobnych szkoleń dotyczących tylko pierwszej pomocy w stanach zagrożenia życia związanych z cukrzycą wydaje się bezzasadne.
- Mimo iż projekt zawiera wskaźniki monitorowania, nie odnoszą się one do wszystkich celów, jakie mają być osiągnięte poprzez realizację programu. Projekt zakłada poprawę jakości życia osób chorych na cukrzycę, a nie monitoruje tego wskaźnika. Podobnie jest ze zmniejszeniem liczby zachorowań na cukrzycę, czy zmniejszeniem powikłań cukrzycy – aby sprawdzić, czy cel ten został osiągnięty, należałoby porównać sytuację sprzed wprowadzenia programu z sytuacją po jego wprowadzeniu. Wydaje się również, że wskaźnikiem wartym monitorowania byłaby liczba wyników fałszywie dodatnich i fałszywie ujemnych.
- Projekt nie zawiera dowodów skuteczności, bezpieczeństwa ani efektywności kosztowej planowanych interwencji.
- Na podstawie przeglądów systematycznych, przeprowadzonych na potrzeby zaleceń klinicznych, stwierdzono brak przekonujących dowodów bezpośrednio wskazujących, że wczesna kontrola cukrzycy wykrytej w wyniku skryningu przynosi inkrementalne korzyści w odniesieniu do mikronaczyniowych klinicznych punktów końcowych, w porównaniu do rozpoczęcia leczenia po rozpoznaniu klinicznym w ramach standardowej opieki. O potencjalnych korzyściach z wczesnego wykrywania i leczenia cukrzycy wnioskuje się pośrednio na podstawie badań dotyczących wpływu różnych interwencji leczniczych na efekty zdrowotne osób z cukrzycą rozpoznaną klinicznie, nie w ramach skryningu, oraz niekorzystnego profilu ryzyka chorób sercowo-naczyniowych stwierdzonego u osób z nowozdiagnozowaną cukrzycą. Wobec braku dowodów wskazujących bezpośrednio na efektywność programów skryningowych w kierunku cukrzycy, nie jest możliwe pewne stwierdzenie ich efektywności kosztowej. Dostępne analizy ekonomiczne wykorzystujące różnego rodzaju techniki modelowania sugerują, że skryning w kierunku cukrzycy typu 2 skierowany do określonych populacji może być kosztowo-efektywny. Analizy te w głównej mierze odnosiły się do skryningu oportunistycznego. Mimo braku bezpośrednich dowodów na efektywność kliniczną w osiąganiu twardych punktów końcowych (np. umieralność) i kosztową, czynne wykrywanie niezdiagnozowanej cukrzycy wśród osób z podwyższonym ryzykiem cukrzycy jest powszechnie zalecane. Większość wytycznych zaleca prowadzenie skryningu oportunistycznego w warunkach podstawowej opieki zdrowotnej u osób, u których na podstawie przeprowadzonej

oceny stwierdzi się podwyższone ryzyko wystąpienia cukrzycy. Zwykłe rozpowszechnianie informacji o ryzyku wystąpienia cukrzycy oraz dostępnych strategiach redukcji ryzyka jest niewystarczające do odwrócenia epidemii cukrzycy typu 2. Dla skutecznej prewencji istotne jest stworzenie warunków środowiskowych, które sprzyjałyby osiągnięciu i utrzymaniu zdrowego stylu zdrowia. Dodatkowo na podstawie odnalezionych informacji można stwierdzić, że treningu mające na celu nauczenie samoopieki w cukrzycy są skuteczne w odniesieniu do osób chorujących. W celu zapobiegania powikłaniom cukrzycy pod postacią cukrzycowej choroby nerek, powinno się raz do roku wykonywać badania kontrolne u chorych na cukrzycę typu II. W trakcie wizyty powinno się określać czynniki ryzyka, a także badać poziom stężenia kreatyniny oraz albumin w moczu. Skryning w kierunku retinopatii cukrzycowej powinien być zagwarantowany i dostępny dla wszystkich chorych na cukrzycę bez względu czy pozostają pod opieką lekarza, lub są pacjentami szpitala. Kompleksowa edukacja dotycząca stopy cukrzycowej, powinna być dostępna dla wszystkich chorych na cukrzycę w czasie diagnozy, a następnie w razie potrzeby na podstawie aktualnej sytuacji.

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

.....
[Redacted signature area]

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48 ust. 2a ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, z uwzględnieniem raportu „Narodowy Program Profilaktyki i Edukacji Diabetologicznej na rok 2012” realizowany przez: Ministerstwo Zdrowia, nr: AOTM-OT-440-4/2011, Warszawa, luty 2012 i aneksu „Programy zdrowotne z zakresu profilaktyki i wczesnego wykrywania cukrzycy – wspólne podstawy oceny”, Aneks do raportów nr: AOTM-OT-441-108/2011, AOTM-OT-441-152/2011, AOTM-OT-440-4/2011, Warszawa, luty 2012.

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

1. opinie ekspertów przedstawione w czasie posiedzenia.

Opinia Rady Przejrzystości

nr 14/2012 z dnia 22 lutego 2012

w sprawie objęcia refundacją produktu leczniczego zawierającego substancję czynną pegfilgrastim w zakresie wskazań do stosowania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego

Rada rekomenduje wydanie z urzędu decyzji o objęciu refundacją leku przy danych klinicznych, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w ChPL, w zakresie objęcia refundacją produktu leczniczego zawierającego substancję czynną pegfilgrastim we wskazaniu profilaktyka pierwotna i wtórna neutropenii w czasie chemioterapii o ryzyku występowania neutropenicznej gorączki powyżej 20% oraz w uzasadnionych przypadkach u chorych z niższym ryzykiem, w szczególności u chorych poddawanych chemioterapii o założeniu radykalnym, dla którego wydano decyzję o objęciu refundacją, o których mowa w ustawie z dnia 12.05.2011r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych. Jednocześnie Rada uważa, że refundacja powinna dotyczyć wszystkich leków z grupy G-CSF.

Przedmiot zlecenia

Wydanie opinii w sprawie wydania z urzędu decyzji o objęciu refundacją leku przy danych klinicznych, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w ChPL w zakresie produktu leczniczego zawierającego substancję czynną pegfilgrastim we wskazaniu: profilaktyka pierwotna i wtórna neutropenii w czasie chemioterapii o ryzyku występowania neutropenicznej gorączki powyżej 20% oraz w uzasadnionych przypadkach u chorych z niższym ryzykiem, w szczególności u chorych poddawanych chemioterapii o założeniu radykalnym.

Problem zdrowotny

Neutropenia - obniżenie liczby granulocytów obojętnochłonnych – neutrofilii we krwi (ANC) do wartości poniżej $1,5 \times 10^9/l$.

Neutropenia należy do najczęstszych powikłań chemioterapii przeciwnowotworowej i jest jednocześnie najważniejszym czynnikiem ograniczającym możliwość jej stosowania. Występuje u 25-40% chorych po raz pierwszy poddawanych chemioterapii w zależności od charakterystyki leczonej grupy i indywidualnych czynników ryzyka. W wypadku chorych wcześniej leczonych mielotoksycznymi schematami chemioterapii ryzyko wystąpienia neutropenii szacuje się na niemal 100%.

Neutropenia u chorych na nowotwory powstaje najczęściej wskutek mielotoksycznego oddziaływania chemioterapii (60–80%) i radioterapii na układ krwiotwórczy, ale może być również spowodowana naciekaniami szpiku kostnego lub zakażeniami.

Gorączka neutropeniczna (GN) oznacza sytuację, gdy temperatura w jamie ustnej pacjenta w pojedynczym pomiarze wynosi $38,3^{\circ}C$ bądź więcej lub przez ponad 60 minut utrzymuje wartość przynajmniej $38^{\circ}C$, a liczba

neutrofili wynosi mniej niż $0,5 \times 10^9/l$ lub poniżej $1 \times 10^9/l$, jeśli przewidywane jest dalsze obniżenie do wartości niższej niż $0,5 \times 10^9/l$. 1

Neutropenia wywołana leczeniem przeciwnowotworowym związana jest z podwyższonym ryzykiem infekcji oraz zgonu pacjenta a także może wpływać na modyfikację leczenia chemioterapeutycznego, w tym obniżenie lub opuszczanie dawek chemioterapeutyku.

Opis rozpatrywanej technologii medycznej

Neulasta 6 mg, roztwór do wstrzykiwań, data pierwszego pozwolenia: 22 sierpnia 2002, lek wydawany na receptę. Wskazania zarejestrowane: Skrócenie czasu trwania neutropenii i częstości występowania neutropenii z gorączką u pacjentów leczonych chemioterapią cytotoksyczną z powodu choroby nowotworowej (z wyjątkiem przewlekłej białaczki szpikowej i zespołów mielodysplastycznych). Zaleca się stosowanie jednej dawki zawierającej 6 mg produktu Neulasta (jedna ampułkostrzykawka) w każdym cyklu chemioterapii. Lek należy podawać we wstrzyknięciu podskórnym, około 24 godziny po zakończeniu chemioterapii cytotoksycznej.

Zgodnie z obwieszczeniem MZ wydanym na dzień 1 stycznia 2012 r. pegfilgrastim jest finansowany w ramach wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych w ramach grupy limitowej 133.0 „Leki przeciwnowotworowe i immunomodulujące - immunostymulujące - czynniki stymulujące wzrost granulocytów”, która obejmuje również filgrastimum i lenogrostimum.

Alternatywne technologie medyczne

Filgrastym (Neupogen, Tevagrastim, Zarzio): lek stosuje się 1 x/d do czasu powrotu liczby neutrofilów do wartości prawidłowych po maks. zmniejszeniu ich liczby (nadir); w zależności od zastosowanej chemioterapii czas podawania filgrastymu może wynosić 14-38 dni.

Lenograstym (Granocyte 34): leczenie rozpoczyna się 24 h po przeszczepieniu lub zakończeniu chemioterapii i utrzymuje do powrotu liczby neutrofilów do porównywalnej z liczbą stwierdzaną przed leczeniem, maks. przez 28 kolejnych dni.

Okres podawania filgrastimu i lenograstimu charakterystyczny dla aktualnej praktyki klinicznej wynosi średnio 7 dni. Zgodnie z badaniami klinicznymi – wynosi 11 dni.

Dowody naukowe

Zawarte w opracowaniu AOTM dowody naukowe odnoszą się do zarejestrowanych wskazań pegfilgrastimu.

Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej

Zawarte w opracowaniu AOTM rekomendacje odnoszą się do zarejestrowanych wskazań pegfilgrastimu.

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

.....
[Redacted signature area]

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, z uwzględnieniem opracowania Agencji Oceny Technologii Medycznych „Pegfilgrastimum (Neulasta) we wskazaniu: profilaktyka pierwotna i wtórna neutropenii w czasie chemioterapii o ryzyku występowania neutropenicznej gorączki powyżej 20% oraz w uzasadnionych przypadkach u chorych z niższym ryzykiem, w szczególności u chorych poddawanych chemioterapii o założeniu radykalnym”, AOTM. Warszawa, luty 2012 r.

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

1. opinie ekspertów przedstawione w czasie posiedzenia.