



**Protokół nr 1/2015  
z posiedzenia Rady Przejrzystości  
w dniu 5 stycznia 2015 roku  
w siedzibie Agencji Oceny Technologii Medycznych**

Członkowie Rady Przejrzystości (Rada) obecni na posiedzeniu:

1. Marek Keller
2. Agata Maciejczyk
3. Michał Myśliwiec
4. Tomasz Pasierski
5. Jerzy Stelmachów
6. Piotr Szymański
7. Andrzej Śliwczyński
8. Marek Wroński

Nieobecni na posiedzeniu członkowie Rady:

1. Paweł Grieb
2. Rafał Suwiński

Porządek obrad:

1. Otwarcie posiedzenia.
2. Omówienie i zatwierdzenie porządku obrad.
3. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej Ministra Zdrowia „Program badań przesiewowych noworodków w Polsce na lata 2015-2018”.
4. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej Ministra Zdrowia „Zapewnienie samowystarczalności Rzeczypospolitej Polskiej w krew i jej składniki na lata 2015-2020”.
5. Dyskusja na temat zgłaszania konfliktu interesów przez członków Rady, w kontekście zmiany ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych.
6. Losowanie składu Zespołu na 16 stycznia i 2 lutego 2015 r.
7. Zamknięcie posiedzenia.

**Ad.1.** Posiedzenie o godzinie 10:30 otworzył Wiceprzewodniczący Rady Michał Myśliwiec.

**Ad.2.** Rada przyjęła jednogłośnie propozycję porządku obrad przedstawioną przez Michała Myśliwca.



**Ad.3.** Pracownik Agencji przedstawił najistotniejsze informacje z Raportu nr: AOTM-OT-440-4/2014 „Program polityki zdrowotnej - PROGRAM BADAŃ PRZESIEWOWYCH NOWORODKÓW W POLSCE NA LATA 2015-2018”.

Następnie projekt opinii przedstawił członek Rady, wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie.

W wyniku przeprowadzonej dyskusji Rada, 7 głosami za projektem opinii Rady, przy 1 głosie przeciw projektowi opinii Rady, przyjęła uchwałę będącą jej opinią, która stanowi załącznik do protokołu.

**Ad.4.** Pracownik Agencji przedstawił najistotniejsze informacje z Raportu nr: AOTM-440-5/2014 „Zapewnienie samowystarczalności Rzeczypospolitej Polskiej w krew i jej składniki na lata 2015-2020”.

Następnie projekt opinii przedstawił członek Rady, wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie.

W wyniku przeprowadzonej dyskusji Rada, 8 głosami za projektem opinii Rady, przy 0 głosów przeciw projektowi opinii Rady, przyjęła uchwałę będącą jej opinią, która stanowi załącznik do protokołu.

**Ad.5.** Po krótkiej dyskusji nad „Regulaminem Pracy Rady Przejrzystości”, jednogłośnie uznano, że pomimo braku konfliktu interesu stosownie do Regulaminu, członek Rady może wycofać się z głosowania lub/i dyskusji nad punktem, który według niego może być rodzajem konfliktu interesu.

**Ad.6.** Przeprowadzono losowanie składu Zespołu na posiedzenie Rady w dniu 16 stycznia i 2 lutego 2015 r.

**Ad.7.** Prowadzący posiedzenie Michał Myśliwiec zakończył posiedzenie Rady o godzinie 12:20.

Protokół zatwierdził prowadzący posiedzenie:

  
.....  
Michał Myśliwiec  
Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości



Opinia Rady Przejrzystości

nr 1/2015 z dnia 5 stycznia 2015 r.

o projekcie programu polityki zdrowotnej Ministra Zdrowia „Program badań przesiewowych noworodków w Polsce na lata 2015-2018”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej Ministra Zdrowia „Program badań przesiewowych noworodków w Polsce na lata 2015-2018”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.

**Uzasadnienie**

Projekt stanowi kontynuację programu realizowanego w latach 2009-2014, polegającego na wstępnej identyfikacji chorób wrodzonych (wad metabolicznych) u wszystkich noworodków, za pomocą diagnostyki biochemicznej, przed wystąpieniem objawów klinicznych, co pozwala na wczesne rozpoczęcie leczenia.

Realizowany w latach ubiegłych program obejmował badania w kierunku identyfikacji 23 chorób. Były to: fenyloketonuria, hipotyreoza, mukowiscydoza oraz 20 wrodzonych rzadkich wad metabolizmu. Projekt zakłada poszerzenie badań przesiewowych o kolejnych 7 jednostek chorobowych. Są to: wrodzony przerost nadnerczy, deficyt biotynidazy, wady metabolizmu aminokwasów (argininobursztynuria, argininemia, , tyrozynemia typu II, cytrulinemia typu II) oraz tłuszczów (deficyt mitochondrialnego białka trójfunkcyjnego).

W państwach Unii Europejskiej wszystkie noworodki objęte są różnym zakresem takich badań. Istnieją również duże różnice kosztów potwierdzenia diagnozy, po uzyskaniu wyniku dodatniego badania, w odniesieniu do konkretnych chorób w poszczególnych krajach.

Badania przesiewowe noworodków są zalecaną strategią w wykrywaniu chorób zagrażających życiu, które nie dają charakterystycznych objawów klinicznych w pierwszych tygodniach czy miesiącach życia, a nieleczone zaburzają rozwój, prowadząc do nieodwracalnych zmian neurologicznych oraz niepełnosprawności intelektualnej.

Zakres dowodów naukowych odnoszących się do badań przesiewowych poszczególnych chorób jest odmienny i w różnym stopniu ograniczony. Podkreśla się np. konieczność przeprowadzenia dalszych badań w zakresie poprawy efektywności badań przesiewowych u dzieci urodzonych przedwcześnie.

Istnieją jednoznacznie pozytywne rekomendacje dotyczące prowadzenia badań w kierunku identyfikacji mukowiscydozy, fenyloketonurii oraz niedoczynności



tarczycy. Rekomendacje odnoszące się do diagnostyki rzadkich chorób metabolicznych, które ma objąć program w latach 2015-2018, są również pozytywne.

Rekomendacje dotyczące badań przesiewowych w kierunku galaktozemii i niedoboru dehydrogenazy 3-hydroksyacetyl–koenzymu A długołańcuchowych kwasów tłuszczowych są negatywne.

Polscy specjaliści z dziedziny neonatologii, pediatrii metabolicznej, diagnostyki laboratoryjnej, endokrynologii dziecięcej i genetyki klinicznej wypowiadają się za realizacją przedstawionego programu.

Finansowanie programu zapewnia Ministerstwo Zdrowia. Budżet całkowity został oszacowany na kwotę 108 855 473 PLN. W długoterminowej perspektywie przeznaczenie funduszy na działania profilaktyczne, jakimi są badania przesiewowe, pozwala na ograniczenie wydatków społecznych.

Analiza ekonomiczna (Cipriano i wsp. 2006) wskazuje, że wykorzystanie tandemowej spektrometrii mas do identyfikacji dużego panelu chorób, a nie ograniczenie się do tylko jednej, jest wystarczającym argumentem za dodaniem kolejnych jednostek chorobowych do prowadzonego programu przesiewowego.

Przedstawiony projekt przewiduje rozbudowaną diagnostykę, w dokładny sposób opisuje wdrażanie działań i etapowe wprowadzanie badań na terenie całego kraju, zawiera dane na temat kosztów jego realizacji, obarczony jest jednak usterkami – wymaga zmian, wyjaśnień i uzupełnień:

- w sposób niekompletny podano dane na temat poszczególnych jednostek chorobowych, m.in. pominięto opis argininemii,
- w sposób wybiórczy przedstawiono dane epidemiologiczne – bez ich znajomości nie można ustosunkować się do wykresów i rycin prezentowanych w projekcie,
- w sposób wybiórczy przedstawiono algorytmy postępowania w odniesieniu do poszczególnych jednostek chorobowych,
- opis planowanych interwencji i schemat organizacyjny opieki klinicznej, a zwłaszcza leczenia dzieci wymagających weryfikacji wyników badań przesiewowych oraz dalszej opieki klinicznej w przypadkach stwierdzonej choroby powinien zostać przedstawiony w sposób bardziej szczegółowy,
- nie odniesiono się do zasad pobierania i przechowywania pobranych materiałów do badań, m.in. nie odniesiono się do sytuacji, gdy matka opuszcza z noworodkiem szpital przed pobraniem próbki krwi do badań przesiewowych, ani do przypadków urodzenia dziecka poza szpitalem,
- nie odniesiono się do obowiązku uzyskania zgody rodziców/opiekunów na wykonanie badania,

- *nie podano konkretnych informacji na temat prowadzenia kampanii informacyjnej o realizowanym programie, w tym nie przedstawiono wzoru materiałów informacyjnych,*
- *nie uwzględniono w opisie programu konieczności przeprowadzenia odpowiedniego wywiadu rodzinnego,*
- *nie odniesiono się do kwestii czułości i specyficzności przeprowadzanych testów – m.in. wyników fałszywie dodatnich czy fałszywie ujemnych, w celu ograniczenia kosztów niepotrzebnych badań potwierdzających,*
- *nie podano, w jaki sposób będzie monitorowana ciągłość opieki nad dziećmi zdiagnozowanymi we wstępnym badaniu przesiewowym,*
- *nie podano informacji na temat zakończenia udziału dzieci w programie,*
- *nie ustosunkowano się do ewaluacji działań prowadzonych w ramach programu realizowanego w latach 2009-2014, co jest konieczne do prawidłowej realizacji obecnego programu,*
- *wyjaśnienia wymaga kwestia podania dwóch różnych kwot mających ilustrować wydatki na realizację programu w latach 2009-2014 (84 946 479 PLN vs 76 897 616 PLN),*
- *wyjaśnienia wymaga sprawa realizacji programu w roku 2014 i zgłoszenia projektu kontynuacji programu dopiero od roku 2015,*
- *dane dotyczące efektywności kosztowej prowadzenia badań przesiewowych nie uwzględniają 7 jednostek chorobowych, planowanych do włączenia do programu w latach 2015-2018,*
- *nie podano, dlaczego liczba badań przesiewowych w kierunku fenylketonurii została oszacowana na 388 tysięcy, a pozostałych badań na 370 tysięcy,*
- *w odniesieniu do diagnostyki mukowiscydozy, należy zróżnicować postępowanie z noworodkami, u których znaleziono 2 mutacje genu CFTR (osoby chore) od postępowania z noworodkami, u których znaleziono 1 mutację.*
- *wskazane wydaje się prowadzenie audytu realizacji programu oraz współpraca w jego tworzeniu i realizacji ze specjalistami z dziedziny endokrynologii i diabetologii dziecięcej, w tym z Polskim Towarzystwem Endokrynologii i Diabetologii Dziecięcej,*
- *należy rozważyć uściślenie tytułu programu, zaznaczając, że jego celem jest identyfikacja wad metabolicznych, ponieważ skryning pod kątem wykrycia tych chorób nie jest jedynym badaniem wykonywanym u noworodków (np. prowadzi się badania w celu wykrycia ewentualnych wad słuchu).*

.....  
Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości  
prof. Michał Myśliwiec

**Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt 3 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2008 r. Nr 164, poz. 1027 z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr AOTM-OT-440-4/2014, „Program polityki zdrowotnej - PROGRAM BADAŃ PRZESIEWOWYCH NOWORODKÓW W POLSCE NA LATA 2015-2018” realizowany przez: Ministerstwo Zdrowia (ocena projektu programu), Warszawa, grudzień 2014.



Opinia Rady Przejrzystości  
nr 2/2015 z dnia 5 stycznia 2015 r.

o projekcie programu polityki zdrowotnej Ministra Zdrowia  
„Zapewnienie samowystarczalności Rzeczypospolitej Polskiej w krew i  
jej składniki na lata 2015-2020”

*Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej Ministra Zdrowia „Zapewnienie samowystarczalności Rzeczypospolitej Polskiej w krew i jej składniki na lata 2015-2020”.*

**Uzasadnienie**

*Projekt Programu dotyczy istotnego i dobrze zdefiniowanego w literaturze problemu zdrowotnego, jakim jest krwiodawstwo. Problem zdrowotny został opisany w sposób przejrzysty i wyczerpujący, a także opisano aktualną sytuację krwiodawstwa w Polsce, podkreślając deficyt krwi w okresie letnim.*

*Obecny projekt jest kontynuacją programu dot. tego samego zakresu tematycznego z lat 2009-2014, który jednak nie był opiniowany przez Agencję.*

*Ma on cztery cele szczegółowe:*

- promocja i edukacja w zakresie honorowego krwiodawstwa;*
- uniknięcie niebezpieczeństwa pobrania zainfekowanej krwi, poprzez wprowadzenie pilotażowej procedury „Kandydata na dawcę krwi”, polegającej na dwuetapowości zabiegu oddania krwi;*
- optymalizacja stosowania składników krwi i produktów krwiopochodnych;*
- zapewnienie odpowiednich warunków transportu, gwarantujących uzyskiwanie składników krwi najwyższej jakości, poprzez zakup odpowiednich środków transportu.*

*Celem głównym programu jest zapewnienie samowystarczalności krajowi w krew i jej składniki, w oparciu o dobrowolne (honorowe) krwiodawstwo. Cel ten wpisuje się w liczne rekomendacje polskich ekspertów oraz wytyczne praktyki klinicznej, zarówno w Polsce jak i na świecie. Adresatami programu są głównie: personel medyczny bezpośrednio zaangażowany w obsługę dawcy krwi (lekarze, rejestratorzy, personel pobierający krew), młodzież szkół gimnazjalnych oraz ponadgimnazjalnych, dotychczasowi oraz potencjalnie nowi dawcy krwi – głównie z młodego oraz średniego pokolenia.*

*W zakresie promocji i edukacji zaplanowano przygotowanie i przeprowadzenie ogólnopolskiej akcji oraz zsynchronizowanych z nią regionalnych akcji*



*propagujących honorowe krwiodawstwo. Szeroka akcja informacyjno- edukacyjna prowadzona będzie za pośrednictwem plakatów, ulotek, broszur edukacyjnych, a także spotów promujących honorowe krwiodawstwo, zarówno w radiu, jak i telewizji.*

*Program jest poprawnie przygotowany i zaplanowano go na okres sześćoletni. Posiada odpowiedni budżet ogólny (ok. 95 milionów złotych podzielonych na 6 lat), ale brak jest budżetu szczegółowego. Rada zwróciła uwagę na fakt przeznaczania w 2017 r. i 2019 r. wysokiej łącznej kwoty (2 mln zł) na aktualizację „Wytycznych w zakresie leczenia krwi i jej składnikami oraz produktami krwiopochodnymi w podmiotach leczniczych” oraz aktualizację standardu pracy komitetu transfuzjologicznego. W 2015 roku na tę samą pozycję przeznaczono 200 tys. zł. Wnioskodawca nie wyjaśnił w projekcie, skąd tak duży wzrost nakładów związanych z aktualizacją wytycznych.*

*Realizatorami programu będą instytuty badawcze oraz jednostki publicznej służby krwi, które zostaną wybrane z konkursu. Program będzie monitorowany, jednak, zdaniem Rady, do projektu powinny zostać dołączone wejściowe wskaźniki, które pozwoliłyby obiektywnie ocenić efektywność zastosowanych interwencji/działań. Wskazane jest zbadanie różnic w wykorzystaniu krwi w szpitalach oraz pomiędzy szpitalami o zbliżonym profilu, a także w zależności od regionu/okręgu – zgodnie z wytycznymi WHO.*

*Konieczne jest przedstawienie ewaluacji poprzedniej edycji programu z lat 2009 – 2014.*

.....  
Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości  
prof. Michał Myśliwiec

**Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt 3 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2008 r. Nr 164, poz. 1027 z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr AOTM-440-5/2014, ocena projektu programu „Zapewnienie samowystarczalności Rzeczypospolitej Polskiej w krew i jej składniki na lata 2015-2020” realizowany przez: Ministerstwo Zdrowia, Warszawa, grudzień 2014.