



**Protokół nr 9/2013
z posiedzenia Rady Przejrzystości
w dniu 8 kwietnia 2013 roku
w siedzibie Agencji Oceny Technologii Medycznych**

Członkowie Rady Przejrzystości (Rada) obecni na posiedzeniu:

1. [REDACTED]
2. [REDACTED]
3. [REDACTED]
4. [REDACTED]
5. [REDACTED]
6. [REDACTED]
7. [REDACTED]
8. [REDACTED]

Członkowie Rady nieobecni na posiedzeniu:

1. [REDACTED]
2. [REDACTED]

Lista obecności stanowi załącznik do niniejszego protokołu.

Porządek obrad:

1. Otwarcie posiedzenia.
2. Omówienie i zatwierdzenie porządku obrad.
3. Powitanie i prezentacja nowych członków Rady.
4. Omówienie konfliktów interesów członków Rady i głosowanie nad ich wyłączeniem z głosowania albo z udziału w zakresie omawianego wniosku.
5. Przygotowanie stanowiska w sprawie objęcia refundacją leków, wymienionych w załączniku do pisma o sygn. MZ-460-13943-16/MM/13, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego.
6. Przygotowanie opinii o projektach programów zdrowotnych:
 - 1) „Zwiększenie dostępności do podstawowych badań przesiewowych u dzieci w ramach „Programu profilaktyki i promocji zdrowia w gminie i mieście Odolanów na lata 2012-2014””,
 - 2) „Zwiększenie bezpieczeństwa zdrowotnego kobiety w wieku od 25 - 59 roku życia na terenie miasta i gminy Kąty Wrocławskie”,



- 3) „Konsultacje specjalistyczne wraz z podstawową diagnostyką w ramach „Miejskiego Programu Promocji Zdrowia na rok 2013””.
7. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Ritalmex (mexilatinum) kapsułki 200 mg we wskazaniu: dystrofia miotoniczna typu 1; dystrofia miotoniczna typu 2; miotonia typu Thomsena; dystrofia miotoniczna Beckera; komorowe zaburzenia rytmu serca; nawracające burze elektryczne – stan po implantacji ICD; pierwotne zaburzenia mięśniowe – choroba Eulenburga.
8. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Orap (pimozidum) kapsułki 1 mg i 4 mg we wskazaniu: zespół tików głosowych i ruchowych – zespół Gillesa de la Tourette’a; zespół tików przewlekłych; zespół tików przejściowych; choroba Leigha.
9. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Proglycem (diazoxidum) we wskazaniu: hipoglikemia hiperinsulinemiczna; zespół hipoglikemia-hiperamoniemia; hiperinsulinizm organiczny; wyspiak trzustki.
10. Przygotowanie opinii o projektach programów zdrowotnych:
 - 1) „Projekt programu profilaktyki chodu w wieku 55+ na lata 2012-2014.
 - 2) „Rehabilitacja lecznicza - fizjoterapia dzieci i młodzieży niepełnosprawnej ruchowo oraz dzieci i młodzieży z wadami postawy z terenu Gminy Sułkowice na lata 2013-2015”.
11. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku: Protelos (ranelinian strontu) we wskazaniu: leczenie osteoporozy u pacjentek w wieku powyżej 65 lat ze stwierdzoną pierwotną osteoporozą pomenopauzalną (T-Score mniejsze lub równe 2,5 mierzone metodą DXA), ze złamaniem kręgowym lub złamaniem biodra, po niepowodzeniu leczenia bisfosfonianami lub przeciwwskazaniami (nietolerancją) do stosowania doustnych bisfosfonianów.
12. Zamknięcie posiedzenia.

Ad.1. Posiedzenie o godzinie 10:30 otworzył [REDAKTOWANE].

Ad.2. Rada przyjęła jednogłośnie propozycję porządku obrad przedstawioną przez [REDAKTOWANE], uwzględniającą ww. prośbę.

Ad.3. [REDAKTOWANE] powitał nowych członków Rady oraz poprosił o przedstawienie się. [REDAKTOWANE] przedstawił się jako [REDAKTOWANE], a [REDAKTOWANE] jako [REDAKTOWANE].

Ad.4. Konflikty interesów zgłosili:

- 1) [REDAKTOWANE], którego Rada w wyniku głosowania, 7 głosami za, postanowiła wyłączyć z udziału w pracach nad tematem objętym pkt 11 dzisiejszego porządku obrad;
- 2) [REDAKTOWANE], którego Rada w wyniku głosowania, 7 głosami za, postanowiła nie wyłączać z głosowania, ani z udziału w pracach nad tematami objętymi dzisiejszym porządkiem obrad;
- 3) [REDAKTOWANE], którego Rada w wyniku głosowania, 7 głosami za, postanowiła nie wyłączać z głosowania, ani z udziału w pracach nad tematami objętymi dzisiejszym porządkiem obrad.

Ad.5. Projekty stanowisk w sprawie objęcia refundacją leków, wymienionych w załączniku do pisma o sygn. MZ-460-13943-16/MM/13, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego przedstawił, wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie, członek Rady [REDAKTOWANE].

W wyniku przeprowadzonej dyskusji Rada:

- 8 głosami za, przy 0 głosów przeciw, przyjęła uchwałę będącą jej opinią, która stanowi załącznik do protokołu,
- 8 głosami za, przy 0 głosów przeciw, przyjęła uchwałę będącą jej opinią, która stanowi załącznik do protokołu.

Ad.6.1. [REDAKTOWANE], na podstawie prezentacji, przedstawiła najistotniejsze informacje z raportu Nr: AOTM-OT-441-124/2012 „Zwiększenie dostępności do podstawowych badań przesiewowych u dzieci”.

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

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

Ad.6.2. [REDAKTOWANE], na podstawie prezentacji, przedstawiła najistotniejsze informacje z raportu Nr: AOTM-OT-441-155/2012 „Zwiększenie bezpieczeństwa zdrowotnego kobiety w wieku od 25 do 59 roku życia na terenie miasta i gminy Kąty Wrocławskie”.

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

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

Ad.6.3. [REDAKTOWANE], na podstawie prezentacji, przedstawiła najistotniejsze informacje z raportu Nr: AOTM-OT-441-301/2012 „Dbamy o zdrowie naszych seniorów”.

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

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

W tym miejscu, decyzją prowadzącego posiedzenie, zmieniono porządek obrad przystępując do omawiania tematu objętego punktem 9 porządku obrad.

Ad.9. [REDAKTOWANE], na podstawie prezentacji, przedstawiła najistotniejsze informacje z raportu Nr: AOTM-OT-431-05/2013 „Proglicem (diazoxidum) kapsułki po 100 mg, 25 mg we wskazaniach: hipoglikemia hiperinsulinemiczna, zespół hipoglikemia – hiperamonemia, hiperinsulinizm organiczny, wyspiak trzustki”.

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

W wyniku przeprowadzonej dyskusji Rada, 8 głosami za, przy 0 głosów przeciw, przyjęła uchwałę będącą jej stanowiskiem, które stanowi załącznik do protokołu.

Ad.7. [REDAKTOWANE], na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z raportu Nr: AOTM-RK-0431-3/2013 „Ritalmex (mexiletinum) kapsułki 200 mg, we wskazaniach: dystrofia miotoniczna typu 1 i 2, miotonia typu Thomsena, dystrofia miotoniczna Beckera, pierwotne zaburzenia mięśniowe – choroba Eulenburga, komorowe zaburzenia rytmu serca, nawracające burze elektryczne – stan po implantacji ICD”.

Następnie projekt stanowiska przedstawił, wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie, członek Rady [REDAKTOWANE].

Decyzją prowadzącego posiedzenie zrezygnowano z przeprowadzenia telekonferencji z ekspertem.

W wyniku przeprowadzonej dyskusji Rada, 8 głosami za, przy 0 głosów przeciw, przyjęła uchwałę będącą jej stanowiskiem, która stanowi załącznik do protokołu.

Ad.8. [REDAKTOWANE], na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z raportu Nr: AOTM-DS-434-1/2013 „Zbadanie zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego Orap (Pimozidum) tabletki á 1 mg i 4 mg we wskazaniu: zespół tików głosowych i ruchowych – zespół Gillesa de la Tourette’a, zespół tików przewlekłych, zespół tików przejściowych, choroba Leigh”.

Następnie projekt opinii przedstawił [REDAKTOWANE].

Decyzją prowadzącego posiedzenie zrezygnowano z przeprowadzenia telekonferencji z ekspertem.

W wyniku przeprowadzonej dyskusji Rada, 8 głosami za, przy 0 głosów przeciw, przyjęła uchwałę będącą jej stanowiskiem, która stanowi załącznik do protokołu.

10.1. [REDAKTOWANE], na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z raportu Nr: AOTM-OT-441-108/2012 „Projekt programu profilaktyki chodu w wieku 55+ na lata 2012 - 2014”.

Następnie projekt opinii przedstawił wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie członek Rady [REDAKTOWANE].

W wyniku przeprowadzonej dyskusji Rada, 4 głosami za, w tym prowadzący posiedzenie, przy 4 głosach przeciw, przyjęła uchwałę będącą jej opinią, która stanowi załącznik do protokołu.

10.2. [REDAKTOWANE], na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z raportu Nr: AOTM-OT-441-362/2012 „Rehabilitacja lecznicza - fizjoterapia dzieci i młodzieży niepełnosprawnej ruchowo oraz dzieci i młodzieży z wadami postawy z terenu Gminy Sułkowice na lata 2013-2015”.

Następnie projekt opinii przedstawił wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie członek Rady [REDAKTOWANE].

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

Ad.11. [REDAKTOWANE], na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z analizy weryfikacyjnej Nr: AOTM-OT-4350-2/2013 „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu produktu leczniczego Protelos (ranelinian strontu) we wskazaniu: leczenie osteoporozy u pacjentek w wieku powyżej 65 lat ze stwierdzoną pierwotną osteoporozą pomenopauzalną (T-score mniejsze lub równe -2,5 mierzone metodą DXA), ze złamaniem kręgowym lub złamaniem biodra, po niepowodzeniu leczenia bisfosfonianami lub przeciwwskazaniami (nietolerancją) do stosowania doustnych bisfosfonianów”.

Następnie projekt opinii przedstawił wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie członek Rady [REDAKTOWANE].

W wyniku przeprowadzonej dyskusji Rada, 6 głosami za, przy 1 głosie przeciw, przyjęła uchwałę będącą jej stanowiskiem, która stanowi załącznik do protokołu.

W tym miejscu odbyło się losowanie składu Zespołu na posiedzenie w dniu 29.04.2013r.

Ad.12. Prowadzący posiedzenie [REDAKTOWANE] zakończył posiedzenie Rady o godzinie 13:50.

Protokół zatwierdził prowadzący posiedzenie:

.....
[REDAKTOWANE]

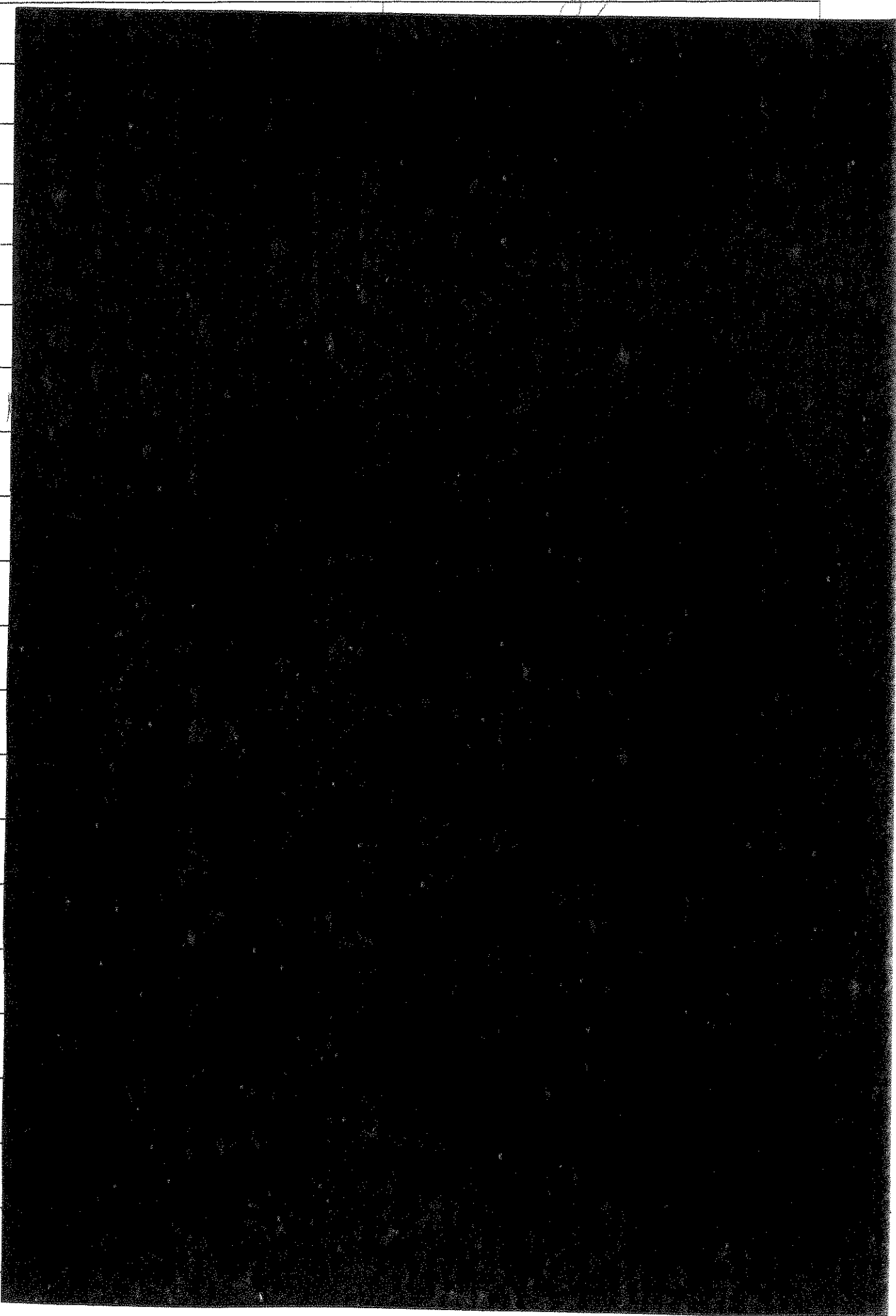
LISTA OBECNOŚCI

Posiedzenie Rady Przejrzystości nr 9/2013 dnia 8 kwietnia 2013 r.

Lp.
1.
2.
3.
4.
5.
6.
7.
8.
9.
10.
11.
12.
13.
14.
15.
16.
17.
18.
19.
20.

07

21.
22.
23.
24.
25.
26.
27.
28.
29.
30.
31.
32.
33.
34.
35.
36.
37.
38.
39.
40.





Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 57/2013 z dnia 8 kwietnia 2013 r.

w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego Proglycem (diazoxidum) kapsułki po 100 mg, 25 mg we wskazaniach: hipoglikemia hiperinsulinemiczna, zespół hipoglikemia-hiperamonemia, hiperinsulinizm organiczny, wyspiak trzustki

Rada uważa za zasadne wydawanie zgody na refundację produktu leczniczego Proglycem (diazoxidum) kapsułki po 100 mg, 25 mg we wskazaniach: hipoglikemia hiperinsulinemiczna, zespół hipoglikemia-hiperamonemia, hiperinsulinizm organiczny, wyspiak trzustki.

Uzasadnienie

Proglycem jest lekiem zabezpieczającym przed krytycznymi spadkami poziomu cukru we krwi wywołanymi hiperinsulinizmem. Jego działanie pozwala uniknąć neurologicznych objawów hipoglikemii i ich następstw.

Przedmiot wniosku

Przedmiotem wniosku jest zbadanie zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego Proglycem (diazoxidum) kapsułki po 100 mg, 25 mg we wskazaniach: hipoglikemia hiperinsulinemiczna, zespół hipoglikemia – hiperamonemia, hiperinsulinizm organiczny, wyspiak trzustki. Wskazany produkt leczniczy jest sprowadzany z zagranicy zgodnie z art. 4 ustawy z dnia 6 września 2001 r. Prawo farmaceutyczne (Dz.U. z 2008 r. Nr 45, poz. 271, z późn. zm.), gdyż na terenie Polski nie jest dopuszczony do obrotu.

Ministerstwo Zdrowia wyraziło zgodę na wykonanie skróconej oceny ww. świadczenia opieki zdrowotnej, ograniczonej do oceny skuteczności oraz profilu bezpieczeństwa, z wykorzystaniem dostępnych informacji dotyczących rejestracji ww. produktu leczniczego oraz uzupełnioną o ewentualne informacje dotyczące badań pierwotnych, przegląd dostępnych rekomendacji klinicznych, rekomendacji refundacyjnych dla tego leku na świecie oraz opinie ekspertów klinicznych.

Problem zdrowotny

Hipoglikemia hiperinsulinemiczna (HH) to wspólny termin dla określenia stanu chorobowego spowodowanego różnymi przyczynami. Najważniejszą przyczyną zaburzeń hipoglikemicznych u niemowląt i dzieci jest hiperinsulinizm. Przyczyny HH mogą być:

- wrodzone (hiperinsulinizm wrodzony spowodowany m. in. mutacjami genów w komórkach beta trzustki np. zespół hiperinsulinemia-hiperamonemia);
- wtórne (np. wyspiak trzustki).

Hipoglikemię w zależności od diagnozy klinicznej, można również podzielić na hipoglikemię:

- egzogenną (egzogenna hipoglikemia występuje np. u chorych na cukrzycę, nadmiernie leczonych lekami β -cytotropowymi lub insuliną);



- endogenną.

Hipoglikemia endogenna może być podzielona na hipoglikemię czynnościową i organiczną (hiperinsulinizm organiczny). Organiczną przyczyną hiperinsulinizmu mogą być guzy trzustki (np. wyspiak trzustki), niektóre zaburzenia hormonalne lub zaburzenia czynności wątroby.

Opis wnioskowanej technologii medycznej

Proglicem (diazoksyd) – pochodna benzotiodiazyny, kod ATC: V03AH01 – diazoxide (leki stosowane w leczeniu hipoglikemii).

Diazoksyd w wyniku interakcji z kanałami K⁺ wrażliwymi w błonie komórkowej komórek β zapobiega ich zamknięciu lub przedłuża ich czas otwarcia; w ten sposób hamuje sekrecję insuliny. Diazoksyd nieznacznie hamuje obwodowe zużytkowanie glukozy w mięśniach szkieletowych i pobudza glukoneogenezę.

Wskazania na podstawie ChPL przekazanego przez podmiot odpowiedzialny (Niemcy)

Proglicem jest zalecany w leczeniu nieprawidłowo niskiego poziomu cukru we krwi (hipoglikemii) różnego pochodzenia:

- hipoglikemia u pacjentów z nadwrażliwością na leucynę,
- przetrwała hipoglikemia hiperinsulinemiczna u niemowląt (PHHI),
- guzy wysp trzustkowych, łagodne i złośliwe,
- hipoglikemia wywołana nowotworami pozatrzustkowymi,
- hipoglikemie nieznanego pochodzenia związane z wysokim poziomem insuliny.

Wskazany produkt leczniczy jest sprowadzany z zagranicy zgodnie z art. 4 ustawy z dnia 6 września 2001 r. Prawo farmaceutyczne, gdyż na terenie Polski nie jest dopuszczony do obrotu. Według informacji przekazanych przez podmiot odpowiedzialny produkt leczniczy Proglicem jest zarejestrowany w następujących krajach: Argentyna, Kanada, Francja, Niemcy, Włochy, Japonia, Liechtenstein, Holandia, RPA, Szwajcaria. W krajach Unii Europejskiej produkt był rejestrowany w procedurze narodowej.

Proglicem nie był jak dotąd technologią ocenianą przez Agencję Oceny Technologii Medycznych.

Zgodnie z zestawieniem przekazanym przez MZ wydano 282 zgody na sprowadzenie preparatu Proglicem (w tym 198 wniosków uzyskało zgodę na refundację). Łączna kwota wydanych zgód refundacyjnych została oszacowana przez MZ na 164 694 PLN – 245 291 PLN. Należy jednak podkreślić, iż w przekazanym przez Ministerstwo Zdrowia zestawieniu brak jest wartości rozliczonych zgód, a jedynie podana jest wartość na którą wydano zgody, co nie jest odzwierciedleniem realnych wydatków poniesionych przez NFZ w zakresie finansowania preparatu Proglicem.

Alternatywne technologie medyczne

Do alternatywnych technologii lekowych najczęściej rekomendowanych i stosowanych we wskazaniu: hipoglikemia hiperinsulinemiczna, zespół hipoglikemia – hiperamonemia, hiperinsulinizm organiczny, wyspiak trzustki, należą analogi somatostatyny [oktreotyd (w tym: Sandostatin, Sandostatin LAR) – zakres wskazań objętych refundacją: akromegalia; zakres wskazań pozarejestacyjnych objętych refundacją: leczenie objawów hipersekrecji występujących w przebiegu nowotworów neuroendokrynnych; leczenie guzów wydzielających insulinę oraz leczenie hiperinsulinizmu u dzieci do 18 roku życia) oraz Lanreotyd (w tym: Somatuline autogel) – zakres wskazań objętych refundacją: akromegalia; zakres wskazań pozarejestacyjnych objętych refundacją: leczenie objawów hipersekrecji występujących w przebiegu nowotworów neuroendokrynnych; leczenie guzów wydzielających insulinę oraz leczenie hiperinsulinizmu u dzieci do 18 roku życia].

Skuteczność kliniczna i bezpieczeństwo

Nie odnaleziono opracowań wtórnych odnoszących się do oceny efektywności klinicznej preparatu Proglicem (diazoksyd). Kryteria włączenia do analizy spełniły 3 publikacje odpowiadające 3 badaniom,

w tym Hoe 2006 (badanie obserwacyjne z grupą kontrolną), Boukhman 1998 (opis serii przypadków) oraz Gill 1997 (opis serii przypadków).

Autorzy badania Hoe 2006 doszli do następujących wniosków: leczenie diazoksydem w dawce 5 do 10 mg/kg/dzień jest skuteczne; dobrą metodą oceny skuteczności leczenia diazoksydem jest wykazanie, że noworodek pomimo pominięcia 2 lub 3 karmień (tzn. brak karmienia przez 8-12 godzin) nadal utrzymuje poziom glukozy we krwi >70 mg / dl; skuteczne leczenie diazoksydem obejmuje okres co najmniej od 4 do 8 tygodni.

Badanie Boukhman 1998.

- Leczenie przedoperacyjne (farmakologiczne, m.in. diazoksydem):

Diazoksyd zastosowano u 41 spośród 56 pacjentów poddanych leczeniu przedoperacyjnemu. W 34 przypadkach odnotowano korzystną reakcję na lek, z czego u 14 pacjentów odnotowano działania niepożądane, w tym: palpacje (n=13), nadmierne owłosienie (hirsutyzm) (n=5), obrzęk (n=5), nudności (n=2), uczucie dyskomfortu (n=2), podwyższone stężenie kwasu moczowego (n=2). U 7 pacjentów odnotowano brak reakcji na diazoksyd. Pięciu pacjentów w wyniku przyjmowania leku diazoksyd doświadczyło poważnych powikłań – w konsekwencji musieli oni zaprzestać przyjmowania preparatu. Podsumowując diazoksyd okazał się skuteczny u 29 spośród 41 pacjentów. Inne leczenie przedoperacyjne obejmowało stosowanie somatostatyny u pięciu pacjentów, dylantyny u 4 pacjentów oraz chemioterapii u jednego pacjenta.

- Leczenie farmakologiczne diazoksydem:

Jedenastu z 67 chorych włączonych do badania z rozpoznaniem insulinoma leczono jedynie farmakologicznie. W ramach tego leczenia pacjenci otrzymywali diazoksyd. Dziewięciu z 11 ww. pacjentów nie zdecydowało się na zabieg usunięcia insulinoma ze względu na zadowalające efekty leczenia diazoksydem. Spośród 11 pacjentów poddanych tylko leczeniu farmakologicznemu diazoksydem u dwojga (w wieku 12 i 22 lata) odnotowano ciężkie działania niepożądane.

W badaniu Gill 1997 u 59% pacjentów leczonych diazoksydem uzyskano ustąpienie objawów insulinoma. Sporadyczne przypadki objawów związanych z hipoglikemią odnotowywano u 38% badanych. Częste uporczywe objawy choroby pomimo leczenia wystąpiły tylko u jednego pacjenta. Działania niepożądane (DN) zanotowano u 17/36 pacjentów. Najczęstszym DN było zatrzymanie moczu, następnie hirsutyzm. We wszystkich przypadkach były one łagodne i nie wymagały zaprzestania leczenia lub zmiany dawki.

Działania niepożądane (ChPL): nadmierne owłosienie, zatrzymanie wody i sodu, zaburzenia żołądkowo-jelitowe (nudności, wymioty), znacznie rzadziej: wysypka, obniżenie poziomu immunoglobulin, neutropenia, eozynofilia, trombocytopenia, hiperurykemia, hipokaliemia. Kwasica ketonowa, może wystąpić u pacjentów, którzy są w złym ogólnym stanie i pozostają bez kontroli lekarzy. Jeśli stężenie glukozy we krwi nie są uważnie monitorowane może wystąpić ciężka hiperosmolarność.

Skuteczność praktyczna

Nie odnaleziono danych.

Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka

Nie dotyczy.

Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

Nie dotyczy.

Wpływ na budżet płatnika publicznego

Nie dotyczy.

Rozwiązania proponowane w analizie racjonalizacyjnej

Nie dotyczy.

Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej

Przeprowadzono wyszukiwanie (w bazach bibliograficznych i serwisach internetowych instytucji i towarzystw naukowych) aktualnych rekomendacji postępowania klinicznego, a także rekomendacji dotyczących finansowania ze środków publicznych produktu leczniczego Proglitem (diazoxidum) kapsułki po 100 mg, 25 mg we wskazaniach: hipoglikemia hiperinsulinemiczna, zespół hipoglikemia – hiperamonemia, hiperinsulinizm organiczny, wyspiak trzustki. Odnaleziono 4 rekomendacje kliniczne (ESCPG 2009, NIH 2009, PSGN 2008, ENETS 2006) i 1 rekomendację refundacyjną (HAS 2011). W większości przypadków substancja diazoxidum obok analogów somatostatyny jest zalecana w leczeniu hipoglikemii oraz insulinoma (m. in. gdy możliwości leczenia operacyjnego i redukującego masę guza oraz terapia analogami somatostatyny zostaną wyczerpane).

Biorąc pod uwagę powyższe argumenty, Rada Przejrzystości przyjęła stanowisko jak na wstępie.



Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31 e ustawy z dnia 24 sierpnia 2004 roku o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2008 r. Nr 164, poz.1027 z późn .zm.) w związku z art. 39 ust. 3 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. Nr 122, poz 696, z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych nr: AOTM-OT-431-05/2013, „Proglitem (diazoxidum) kapsułki po 100 mg, 25 mg we wskazaniach: hipoglikemia hiperinsulinomiczna, zespół hipoglikemia-hiperamonemia, hiperinsulinizm organiczny, wyspiak trzustki”, kwiecień 2013 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 58/2013 z dnia 8 kwietnia 2013

w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego Ritalmex (mexiletinum) kapsułki 200 mg we wskazaniach: dystrofia miotoniczna typu 1 i 2, miotonia typu Thomsena, dystrofia miotoniczna Beckera, pierwotne zaburzenia mięśniowe – choroba Eulenburga, komorowe zaburzenia rytmu serca, nawracające burze elektryczne – stan po implantacji ICD

Rada uważa za zasadne wydawanie zgody na refundację Ritalmex (mexiletine) kapsułki 200 mg we wskazaniach: dystrofia miotoniczna typu 1 i 2, miotonia typu Thomsena, dystrofia miotoniczna Beckera, pierwotne zaburzenia mięśniowe – choroba Eulenburga, komorowe zaburzenia rytmu serca, nawracające burze elektryczne – stan po implantacji ICD.

Uzasadnienie

Meksyletyna jest lekiem o potwierdzonej skuteczności klinicznej, zmniejszającym napięcie mięśniowe i poprawiającym jakość życia u chorych z zespołami miotonicznymi. Pomimo stosunkowo małej ilości dobrej jakości badań klinicznych, jej stosowanie w tej populacji nie wydaje się budzić większych wątpliwości. U chorych z komorowymi zaburzeniami rytmu serca istnieje wiele alternatywnych sposobów farmakoterapii i leczenia interwencyjnego, jednak stosowanie meksyletyny znajduje uzasadnienie u bardzo wyselekcjonowanych pacjentów opornych na działanie innych leków antyarytmicznych. Rada zwraca przy tym uwagę na zachowanie szczególnej rozwagi przy stosowaniu meksyletyny u chorych po implantacji ICD, ze względu na doniesienia sugerujące wzrost prognozy defibrylacji pod wpływem tego leku.

Przedmiot wniosku

Zlecenie dotyczy zbadania zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego Ritalmex (mexiletinum) kapsułki 200 mg we wskazaniach: dystrofia miotoniczna typu 1 i 2, miotonia typu Thomsena, dystrofia miotoniczna Beckera, pierwotne zaburzenia mięśniowe – choroba Eulenburga, komorowe zaburzenia rytmu serca oraz nawracające burze elektryczne – stan po implantacji kardiowertera-defibrylatora (ICD).

Zlecenie z art. 31 e ust. 1 ustawy o z dnia 24 sierpnia 2004 roku o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2008 r. Nr 164, poz.1027 z późn. zm.) oraz art. 39 ust. 3 ustawy z dnia 12 maja 2012 roku o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. Nr 122, poz.696 z późn. zm.).

Problem zdrowotny

Zlecenie MZ dotyczy siedmiu wskazań, z czego pięć, tj. dystrofie miotoniczne typu 1 i typu 2, miotonie wrodzone (choroba Thomsena i choroba Beckera) oraz paramiotonia wrodzona (choroba Eulenburga), należy do tzw. zespołów miotonicznych i było ocenianych wspólnie, a dwa: komorowe zaburzenia rytmu serca i



nawracające burze elektryczne – stan po implantacji ICD, dotyczą problemów zdrowotnych z zakresu kardiologii.

Zespoły miotoniczne są chorobami genetycznymi, których podłożem są mutacje kanałów jonowych lub białek je regulujących. Różne istniejące zespoły miotoniczne należą do kanałopatii: chlorkowych, sodowych, wapniowych i potasowych. Do objawów zespołów miotonicznych należą sztywność mięśni i ich osłabienie, spowodowane nadpobudliwością błony włókna mięśniowego, generującą charakterystyczną czynność bioelektryczną w postaci ciągów miotonicznych. Chorzy odczuwają to zjawisko jako sztywność mięśniową i trudność relaksacji mięśnia. Do kanałopatii chlorkowych należą miotonia wrodzona Thomsena i cięższa klinicznie miotonia Beckera, do kanałopatii sodowych zaś paramiotonia wrodzona (choroba Eulenburga) i dystrofie miotoniczne. Zespoły miotoniczne są chorobami rzadkimi, a częstość ich występowania waha się od 1:25 000 (choroba Beckera) do 1:350 000 (choroba Eulenburga). Szacunkowo, w opinii ekspertów w Polsce dotkniętych poszczególnymi spośród tych schorzeń jest od 100 osób (choroba Eulenburga) do 4 000 (dystrofie mięśniowe), a terapii (w zależności od wskazania i stanu klinicznego) wymaga od 30% do 100% pacjentów.

Terapia zespołów miotonicznych jest leczeniem objawowym, działającym tylko w okresie jego stosowania. W terapii wykorzystuje się m.in. leki przeciwarytmiczne (meksyletyna, fenytoina, propafenon, itd.), jak również może być stosowana karbamazepina, a także leki zmniejszające napięcie mięśni, np. baklofen lub tyzanidyna, jednak żaden z tych leków nie jest oficjalnie zarejestrowany w analizowanych wskazaniach.

Komorowe zaburzenia rytmu serca to arytmie powstające poniżej rozwidlenia pęczka Hisa, które mogą występować w postaci dodatkowych pobudzeń komorowych (VPC) lub złożonych pobudzeń dodatkowych (RVPC). Arytmie komorowe występują powszechnie i mogą pojawiać się u osób z lub bez chorób serca. Częstość ich występowania wzrasta wraz z wiekiem i uszkodzeniem serca.

Nawracające burze elektryczne – stan po implantacji ICD: "Burze elektryczne" to wielokrotne, adekwatne interwencje ICD; występują one u około 10-30% pacjentów w ciągu 13-33 miesięcy po zabiegu wszczepienia ICD. Leczenie pacjentów z „burzą elektryczną” jest wieloetapowe i kosztochłonne. Postępowanie obejmuje zoptymalizowanie programu ICD, wykonanie koronarografii, a w części przypadków angioplastyki wieńcowej – w głębokiej sedacji lub nawet znieczuleniu ogólnym, w połączeniu z podaniem beta-adrenolityków i leków antyarytmicznych, które często są mało skuteczne. Wykonanie zabiegu ablacji prądem o częstotliwości radiowej daje realną szansę na zmniejszenie liczby interwencji ICD i poprawę rokowania.

Opis wnioskowanej technologii medycznej

Ritalmex (mexiletinum) kapsułki 200 mg (grupa farmakoterapeutyczna: preparaty przeciwarytmiczne należące do klasy Ib, kod ATC: C01BB02) zawiera substancję czynną meksyletyna, która jest lekiem antyarytmicznym zaliczanym do grupy Ib wg V. Williama. Jest aminą pierwszorzędową o strukturze chemicznej zbliżonej do lidokainy. Działa miejscowo znieczulająco. W przeciwieństwie do lidokainy może być podawana doustnie. Należy do antagonistów kanałów sodowych.

Mechanizm działania polega na hamowaniu wpływu jonów Na do komórki, w związku z czym zmniejsza szybkość narastania potencjału czynnościowego (fazy 0) i jego amplitudy, bez istotnych zmian potencjału spoczynkowego. Skraca okres skutecznej refrakcji oraz zmniejsza szybkość spoczynkowej depolaryzacji włókien Purkiniego. W mniejszych stężeniach bardziej skraca czas potencjału czynnościowego niż okres skutecznej refrakcji, w większych może wydłużać okres skutecznej refrakcji.

Przedmiotowy produkt leczniczy (we wnioskowanym wskazaniu) nie jest zarejestrowany w procedurze centralnej (EMA).

Produkt leczniczy Ritalmex (mexiletinum) jest zarejestrowany na Węgrzech w terapii arytmii komorowych, arytmii komorowa zagrażających życiu z wyłączeniem pacjentów pozawałowych.

Alternatywne technologie medyczne

Zespoły miotoniczne: W opinii ekspertów technologią alternatywną w terapii zespołów miotonicznych może być karbamazepina, jednak ze względu na niską skuteczność i profil bezpieczeństwa terapia jest przerywana przez pacjentów.

Dodatkowo, przegląd literatury wskazuje na możliwość stosowania innych leków przeciwarytmicznych, takich jak amiodaron, chinidyna, dizopiramid, flekainid, prokainamid, propafenon oraz tokainid. Niemniej – część z tych leków jest wycofana z obrotu (efekty niepożądane), a dostępne (amiodaron) stosowane są głównie w stanach ostrych.

Komorowe zaburzenia rytmu serca: Alternatywne terapie obejmują stosowanie farmakoterapii (beta-blokery), jak również zabieg ablacji lub wszczepienie układu kardiowertera-defibrylatora.

Dodatkowo, przegląd literatury wskazuje na możliwość stosowania innych leków przeciwaritmicznych, takich jak amiodaron, chinidyna, dizopiramid, flekainid, prokainamid, propafenon, sotalol oraz tokainid.

Nawracające burze elektryczne – stan po implantacji ICD: W opinii eksperta, do alternatywnych technologii medycznych zaliczyć można stosowanie farmakoterapii (beta-blokery) oraz zabieg ablacji.

Skuteczność kliniczna i bezpieczeństwo

W ramach systematycznego przeszukania baz danych odnaleziono jeden przegląd systematyczny, 4 publikacje odnoszące się do 3 randomizowanych badań klinicznych oraz 4 publikacje raportujące wyniki badań obserwacyjnych odnoszących się do farmakoterapii meksyletyną zespołów miotonicznych. Analizę oparto na wszystkich odnalezionych badaniach.

Systematyczne przeszukanie baz danych pozwoliło odnaleźć tylko 1 publikację odnoszącą się do randomizowanego badania klinicznego, 2 badania niższej jakości (1 jednoramienne i 1 retrospektywne) oraz 11 publikacji odnoszących się do badań obserwacyjnych oceniających stosowanie meksyletyny w terapii komorowych zaburzeń rytmu serca. Do niniejszego raportu włączono badanie RCT, oba badania niższej jakości oraz 6 badań obserwacyjnych, w których terapii meksyletyną poddani byli chorzy z zaburzeniami rytmu serca opornymi na inne leki przeciwaritmiczne.

Przeszukiwanie baz bibliograficznych pod kątem badań oceniających skuteczność meksyletyny w terapii nawracających burz elektrycznych u pacjentów poddanych implantacji ICD zwróciło tylko jedno badanie obserwacyjne. Nie odnaleziono żadnych badań wysokiej jakości oceniającej stosowanie meksyletyny w tym wskazaniu.

Zespoły miotoniczne

W badaniu Kwieciński 1992 wskazano na skuteczność meksyletyny (600 mg/dobę) w porównaniu do placebo w łagodzeniu objawów miotonii – zarówno w ocenie subiektywnej pacjentów, jak i ocenie obiektywnej, dokonanej na podstawie pomiarów czasu otwierania oczu i dłoni, testu schodów i czasu relaksacji EMG. Niestety, do wyników badania należy podchodzić z ostrożnością z powodu niejasności metodycznych.

Badanie Logigian 2010 porównywało skuteczność terapii meksyletyną w dawkach 150 i 200 mg/3 x dziennie vs. placebo u pacjentów ze zdiagnozowaną dystrofią miotoniczną typu 1. Ocenę skuteczności przeprowadzono w oparciu o pomiar czasu relaksacji oraz maksymalnej siły uścisku ręki. W porównaniu do placebo, terapia meksyletyną (w obu dawkach) i.s. zmniejszyła czas relaksacji oraz poprawiła wynik maksymalnej siły uścisku ręki (dawka 150 mg).

Do badania Statland 2012 włączono pacjentów, u których zdiagnozowano miotonie niedystroficzne (zarówno kanałopatie sodowe, jak i chlorkowe). Terapia meksyletyną (w dawce 200 mg/3x dobę) okazała się skuteczniejsza niż placebo w odniesieniu do pierwszorzędnego punktu końcowego (sztywności mięśni), jak również pozostałych analizowanych wyników (jakość życia, czas relaksacji, ilościowy pomiar miotonii). Co ciekawe, w pierwszym okresie badania terapia meksyletyną okazała się skuteczniejsza u pacjentów z kanałopatiami chlorkowymi.

Komorowe zaburzenia rytmu serca

W badaniu Singh 1984, trwającym ≤12 tygodni, porównywano skuteczność meksyletyny i chinidyny w supresji VPC o co najmniej 70%, redukcji par pobudzeń dodatkowych o co najmniej 50% i supresji częstoskurczu komorowego u pacjentów ze współistniejącymi schorzeniami serca. Wyniki badania ukazują zbliżoną skuteczność meksyletyny i chinidyny we wszystkich analizowanych punktach końcowych. Profil bezpieczeństwa obu leków okazał się zbliżony – najczęściej raportowane efekty niepożądane były związane z układem pokarmowym i nerwowym.

Nawracające burze elektryczne – stan po implantacji ICD

Nie odnaleziono randomizowanych badań klinicznych odnoszących się do farmakoterapii meksyletyną nawracających burz elektrycznych u pacjentów po implantacji ICD.

Uwaga analityka: ograniczeniem analizy klinicznej jest mała liczba włączonych badań, które charakteryzowały się niską lub średnią jakością oraz małą liczebnością populacji, oraz oparcie analizy na badaniach o niższej wiarygodności (badania jednoramienne i studia przypadków).

Analiza bezpieczeństwa stosowania meksyletyny wskazuje, że najczęstszymi efektami niepożądanymi są zaburzenia związane z układem pokarmowym i nerwowym. Nasilenie efektów niepożądanych było często związane z dawką leku, a te związane z układem pokarmowym mogły być złagodzone poprzez podawanie leku z

poślikiem lub substancjami obniżającymi kwasowość w żołądku. Meksyletyna wykazuje umiarkowany profil bezpieczeństwa, a jej stosowanie wymaga regularnych kontroli lekarskich.

Skuteczność praktyczna

Zespoły miotoniczne

Do analizy włączono 4 publikacje będące studiami przypadków, opisującymi stosowanie meksyletyny u pacjentów z miotonią Beckera lub Thomsena. W każdym z opisanych przypadków stosowanie meksyletyny okazało się skuteczne w łagodzeniu objawów miotonii. Przyjmowanie meksyletyny było dobrze tolerowane, nawet w długim okresie czasu (>3 lata) – nie stwierdzono poważnych efektów niepożądanych, zmian w składzie krwi, jak również pomiary EKG nie odbiegały od normy.

Komorowe zaburzenia rytmu serca

Do analizy włączono 2 publikacje raportujące wyniki badań jednoramiennego i retrospektywnego, związanych ze stosowaniem meksyletyny w terapii komorowych zaburzeń rytmu serca, oraz 6 badań obserwacyjnych, w których terapii meksyletyną poddano pacjentów opornych na działanie innych leków przeciwaritmicznych. Okres terapii meksyletyną wyniósł od 2 do 56 miesięcy. Skuteczność terapii wyniosła od 30 do 95 procent, a meksyletyna była dobrze tolerowana. U części pacjentów po pewnym czasie rozszerzono terapię o dodatkowy lek przeciwaritmiczny, co zwiększyło ogólną skuteczność terapii.

Wyniki badań obserwacyjnych potwierdzają częściową skuteczność meksyletyny w terapii komorowych zaburzeń rytmu serca – zarówno w krótkim okresie badania (do 7 dni - terapia ostrych arytmii), jak i długim (do 42 miesięcy); lek był skuteczny u 7 do 71 procent chorych. Częstość występowania efektów niepożądanych zawierała się w przedziale od 9 do 61 procent, a odsetek pacjentów, którzy przegrali terapię z ich powodu, wyniósł od 6 do 40 procent.

Nawracające burze elektryczne – stan po implantacji ICD

W wyniku przeszukiwania bibliograficznych baz danych nie odnaleziono badań najwyższej jakości dotyczących terapii nawracających burz elektrycznych u pacjentów po implantacji ICD. Jedynym odnalezionym badaniem było retrospektywne badanie Blaufox 2012, w którym podawano meksyletynę dzieciom z wszczepionym ICD i diagnozą LQT3. Podawanie meksyletyny spowodowało skrócenie odcinka QTc, na podstawie czego autorzy wnioskują, iż jej stosowanie może być korzystne dla pacjentów.

Dodatkowo, w ramach oceny bezpieczeństwa stosowania meksyletyny u pacjentów z implantowanym ICD, włączono dwa randomizowane badania kontrolne, w których oceniano wpływ terapii meksyletyną i amiodaronem na próg defibrylacji. Wyniki obu badań sugerują brak wpływu meksyletyny na wartość progu defibrylacji. Jednocześnie wyniki innych badań mogą sugerować wzrost wartości progu defibrylacji u chorych leczonych meksyletyną i lidokainą (Cristal 2002, Dopp 2008).

Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka

Nie dotyczy.

Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

Nie dotyczy.

Wpływ na budżet płatnika publicznego

Nie dotyczy.

Rozwiązania proponowane w analizie racjonalizacyjnej

Nie dotyczy.

Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej

Odnaleziono rekomendacje z 2011 roku European Neuromuscular Centre (www.enmc.org), odnoszące się do terapii miotonii w dystrofii miotonicznej typu 2, gdzie rekomenduje się podanie meksyletyny w dawce 2x 50mg – 2x 300 mg w sytuacji wystąpienia poważnej i wyłączającej z funkcjonowania sztywności.

Odnaleziono również wykonane w 2006 roku zestawienie rekomendacji American College of Cardiology Foundation (ACCF), American Heart Association (AHA) i European Society of Cardiology (ESC), odnoszące się do komorowych zaburzeń rytmu serca, gdzie rekomenduje się podawanie meksyletyny chorym z rozpoznaniem LQT3 i torsades de pointes.

Nie odnaleziono rekomendacji odnoszących się do pozostałych zespołów miotonicznych ani do nawracających burz elektrycznych u pacjentów z implantowanym ICD.

W opinii ekspertów, meksyletyna jest lekiem, który nie posiada alternatywy w terapii objawów miotonicznych, natomiast w przypadku komorowych zaburzeń rytmu serca wykazuje skuteczność u pacjentów opornych na działanie innych leków przeciwaritmicznych. Warty podkreślenia jest również fakt, iż meksyletyna wykazuje skuteczność w połączeniu z innymi lekami przeciwaritmicznymi.

Dodatkowe uwagi Rady

Nie dotyczy.

Biorąc pod uwagę powyższe argumenty, Rada Przejrzystości przyjęła stanowisko jak na wstępie.

.....
[Redacted]

[Redacted]

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31 e ust. 1 ustawy o z dnia 24 sierpnia 2004 roku o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2008 r. Nr 164, poz.1027 z późn .zm.) w związku z art. 39 ust. 3 ustawy z dnia 12 maja 2012 roku o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. Nr 122, poz.696 z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu ws. zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego nr AOTM-OT-0431-3/2013, „Ritalmex (mexiletinum) kapsułki 200 mg, we wskazaniach dystrofia miotoniczna typu 1 i 2, miotonia typu Thomsena, dystrofia miotoniczna Beckera, pierwotne zaburzenia mięśniowe – choroba Eulenburga, komorowe zaburzenia rytmu serca oraz nawracające burze elektryczne – stan po implantacji ICD”, 8 kwietnia 2013.

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

1. Crystal E., Ovsyshcher I.E., i wsp. Mexiletine related chronic defibrillation threshold elevation: case report and review of the literature. Pacing and Clinical Electrophysiology 2002 25(4):507-8.
2. Dopp A.L., Miller J.M., Tisdale J.E. Effect of drugs on defibrillation capacity. Drugs 2008 68(5):607-30.



Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 59/2013 z dnia 8 kwietnia 2013 r.

w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego Orap (pimozidum) tabletki á 1 mg i 4 mg we wskazaniach: zespół tików głosowych i ruchowych – zespół Gillesa de la Tourette'a, zespół tików przewlekłych, zespół tików przejściowych, choroba Leigha

Rada uważa za zasadne wydawanie zgody na refundację produktu leczniczego Orap (pimozidum) kapsułki 1 mg i 4 mg we wskazaniach: zespół tików głosowych i ruchowych – zespół Gillesa de la Tourette'a, zespół tików przewlekłych, zespół tików przejściowych oraz choroba Leigha, w terapii drugorzutowej przy nieskuteczności lub złej tolerancji risperidonu lub haloperidolu.

Uzasadnienie

Brak jest danych naukowych wskazujących na większą efektywność pimozydu w porównaniu do risperidonu i haloperidolu, (interwencji tanich i powszechnie dostępnych,) a lek ten może mieć mniej działań niepożądanych.

Przedmiot wniosku

Zlecenie Ministra Zdrowia z dnia 7 marca 2013 r. (znak pisma: MZ-PLD-460-18219-1/AL/13) dotyczyło zbadania na podstawie art. 31n Ustawy o świadczeniach, zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego Orap (pimozidum) tabletki á 1 mg i 4 mg we wskazaniach: zespół tików głosowych i ruchowych – zespół Gillesa de la Tourette'a, zespół tików przewlekłych, zespół tików przejściowych, choroba Leigha.

Podstawa prawna została zmieniona na art. 31 e ust. 1 ustawy z dnia 24 sierpnia 2004 roku o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2008 r. Nr 164, poz.1027 z późn. zm.) oraz art. 39 ust. 3 ustawy z dnia 12 maja 2012 roku o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. Nr 122, poz.696 z późn. zm.).

Problem zdrowotny

Zespół Gillesa de la Tourette'a jest stanem klinicznym charakteryzującym się pojawianiem w początkowej fazie tików motorycznych (mruganie oczami lub wykrzywanie ust). Z biegiem czasu pojawiają się tiki bardziej złożone, takie jak: oblizywanie się, pociąganie nosem, plucie, uderzanie, podskakiwanie, itp. Tiki wokalne zazwyczaj pojawiają się nieco później, przeciętnie w wieku 11 lat. Zespół Tourette'a dotyka 1-5 na każde 1000-10 000 osób. Większość ludzi z zespołem Tourette'a nie wymaga leczenia farmakologicznego. Niemniej jednak, gdy objawy choroby są bardzo nasilone, a tiki w znacznym stopniu utrudniają normalne funkcjonowanie, stosuje się środki farmakologiczne. W przypadku osób cierpiących na Zespół Tourette'a stosuje się głównie neuroleptyki oraz leki przeciwdepresyjne. Stosowane są: haloperidol, sulpiryd, tiapryd, klozepina, topiramet.



Zespół tików przewlekłych ruchowych lub wokalnych charakteryzuje się obecnością pojedynczych lub mnogich tików ruchowych lub wokalnych, ale nie obu naraz i tylko przez pewien czas trwania choroby. Tiki występują wiele razy w ciągu dnia, prawie codziennie lub z przerwami, przez okres dłuższy niż 1 rok, a równocześnie nie występuje ani razu okres wolny od tików trwający dłużej niż 3 kolejne miesiące. Częstość tików przewlekłych oceniana jest na 0,1 do 0,3%.

Zespół tików przejściowych charakteryzują pojedyncze lub mnogie tiki ruchowe i/lub wokalne. Tiki występują przez okres ponad 4 tygodni, ale nie dłużej niż 12 kolejnych miesięcy, wiele razy w ciągu dnia, prawie codziennie lub z przerwami. Tiki przejściowe występują u 4-24% dzieci w wieku szkolnym.

Istnieje tendencja do uznania wszystkich zaburzeń tikowych za jedną jednostkę chorobową, a wszystkie zespoły chorobowe za wyraz rozmaitego nasilenia objawów.

W przewlekłej chorobie tikowej albo przewlekłych tikach ruchowych lub głosowych o łagodnym przebiegu farmakoterapia nie jest wskazana. Leczenie farmakologiczne powinno być brane pod uwagę u tych chorych, u których tiki w istotny sposób zaburzają funkcjonowanie — zakłócają możliwość nauki i współżycie z innymi dziećmi. Stosuje się haloperidol, klonidynę, jak również pimozyd. Stosowane w leczeniu zaburzeń tikowych leki mogą powodować takie objawy, jak: senność, męczliwość, wzrost masy ciała, sztywność i drżenie mięśni, obniżenie nastroju lub pobudzenie, a nawet zachowania agresywne, bóle i zawroty głowy, spadek ciśnienia tętniczego oraz powikłania kardiologiczne.

Zespół Leigha charakteryzuje się hipotonią, wymiotami, ataksją, małym przyrostem, opóźnieniem rozwoju, padaczką, kwasicą mleczanową, zaburzeniami oddychania, zaburzeniami funkcji nerek, zaburzeniami widzenia, oftalmoplegią. Choroba występuje z częstością 1:77 000 do 1 : 34 000.

Choroba jest nieuleczalna i jak dotąd brak jest skutecznych metod leczenia przyczynowego. Zaleca się jednak suplementację witamin lub kofaktorów, w tym B1, czyli tiaminy oraz witaminy B2 – ryboflawiny i koenzymu Q10. Ich skuteczność zależy od wady podstawowej. Jeśli chodzi o kwasicę mleczanową, wyrównuje się ją wodorowęglanem sodu lub cytrynianem sodu. Pacjenci na ogół nie dożywają wieku dorosłego.

Opis wnioskowanej technologii medycznej

Pimozydum jest pochodną difenylobutylopiperydyny. Ponad 50% dawki pimozydu wchłania się po podaniu doustnym. Na podstawie profilu farmakokinetycznego oceniono, że pimozyd ulega w sposób istotny metabolizmowi pierwszego przejścia. Maksymalne stężenie w surowicy występuje zwykle od sześciu do ośmiu godzin po podaniu. Pimozyd metabolizowany jest przede wszystkim w wątrobie przy udziale cytochromu P450 3A4. W mniejszym stopniu metabolizowany jest przez cytochrom P450 1A2. Na główne metabolity składają się: 1-(4-piperydylo)-2-benzimidazolinony i 4,4-bis(4-fluorofenilo) kwasu masłowego. Działanie przeciwpsychotyczne tych metabolitów nie jest poznane. Główną drogą wydalania pimozydu i jego metabolitów są nerki. Pimozydum jest lekiem nieposiadającym pozwolenia na dopuszczenie do obrotu na terytorium Rzeczypospolitej Polskiej, może jednak być sprowadzany z zagranicy, jeżeli jego zastosowanie jest niezbędne dla ratowania życia lub zdrowia pacjenta, na warunkach i w trybie określonym w art. 4 ustawy z dnia 6 września 2001 r. – Prawo farmaceutyczne (Dz. U. z 2008 r. Nr 45, poz. 271, z późn. zm.14), tj. na podstawie zapotrzebowania wystawianego przez szpital albo lekarza prowadzącego leczenie poza szpitalem, potwierdzone przez konsultanta z danej dziedziny medycyny.

Alternatywne technologie medyczne

W Polsce w wymienionych wskazaniach refundowane są następujące substancje czynne: haloperidol, sulpirid, kwetiapina, risperidon, klozapina i topiramet.

Skuteczność kliniczna i bezpieczeństwo

Ocenę efektywności klinicznej stosowania pimozydu w leczeniu zespołu Tourette'a, zespołu tików przewlekłych, tików przejściowych i choroby Leigha przeprowadzono w oparciu o dowody naukowe

odnalezione w ramach przeglądu literatury. Do przeglądu włączone zostały badania kliniczne, przeglądy, przeglądy systematyczne oraz przeglądy systematyczne z metaanalizą.

Nie odnaleziono żadnych dowodów naukowych opisujących stosowanie pimozydu w chorobie Leigha.

Na podstawie zgromadzonych dowodów naukowych należy stwierdzić, że pimozyd jest w porównaniu z placebo skutecznym lekiem w zespole Tourette'a (Pringsheim 2009) oraz innych zespołach tików (Pringsheim 2012). Odnalezione badania nie wykazały różnic w skuteczności działania pimozydu vs risperidon i haloperidol (Roessner 2013, Weisman 2012, Pringsheim 2012, Bruggerman et al. 1999).

Do najczęściej odnotowywanych działań niepożądanych związanych ze stosowaniem pimozydu należą: objawy pozapiramidowe, depresja, zwiększenie apetytu i wydłużenie odcinka QT (Roessner 2013, Shapiro 1989).

Skuteczność praktyczna

Nie odnaleziono badań dokumentujących skuteczność praktyczną.

Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka

Nie dotyczy.

Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

Nie dotyczy.

Wpływ na budżet płatnika publicznego

Z uwagi na fakt braku odpowiedzi ze strony NFZ w kwestii populacji oraz MZ (brak danych odnośnie liczby wydanych zgód na import docelowy, brak podania kosztu preparatu) nie było możliwe przygotowanie części związanej z wpływem na budżet płatnika publicznego.

Rozwiązania proponowane w analizie racjonalizacyjnej

Nie dotyczy.

Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej

W wyniku przeprowadzonego przeglądu baz informacji medycznej oraz stron internetowych w celu odnalezienia rekomendacji postępowania klinicznego w chorobie Leigha, zespole Gillesa de la Tourette'a, zespole tików przejściowych i zespole tików przewlekłych nie odnaleziono żadnych wytycznych i rekomendacji organizacji, towarzystw ani agencji HTA dotyczących wnioskowanej technologii.

Znaleziono 2 wytyczne opublikowane przez zespoły specjalistów:

Canadian Guidelines for the Evidence-Based Treatment of Tic Disorders: Pharmacotherapy, 2012

Wytyczne te wskazują na klonidynę i guanfacynę jako leki zalecane w leczeniu tików u dzieci. Sporządzono również zalecenia o niskiej wartości merytorycznej dla pimozydu, haloperidolu, flufenazyny, metoklopramidu (tylko u dzieci), risperidonu, arypiprazolu, olanzapiny, kwetiapiny, zyprazydonu, topiramatu, baklofenu (tylko u dzieci), iniekcji toksyną botulinową, tetrabenazyny i kanabinoidów (tylko u dorosłych) w leczeniu zespołów tików.

European clinical guidelines for Tourette syndrome and other tic disorders, 2011

Zdaniem ekspertów risperidon może być zalecany jako pierwsza linia leczenia. Największym ograniczeniem w jego stosowaniu są działania niepożądane – przyrost masy i sedacja. Zaleca się również stosowanie pimozydu oraz haloperidolu, który wskazany jest do leczenia tików w większości krajów europejskich. Pimozyd jest lekiem o lepszym profilu działań niepożądanych niż haloperidol. Tiapryd i sulpiryd może być zalecany w oparciu o doświadczenie kliniczne i korzystny profil działań niepożądanych. Aripipazol został uznany za lek o dużym potencjale, zwłaszcza w przypadkach opornych na leczenie oraz prawdopodobnie mniejszego ryzyka ciężkiej nadwagi. Pozostałymi lekami, które mogą być stosowane w leczeniu zespołu Tourette'a są: klonidyna, guanfacyna, olanzapina, kwetiapina, zyprazydon.

Biorąc pod uwagę powyższe argumenty, Rada Przejrzystości przyjęła stanowisko jak na wstępie.

[REDACTED]

[REDACTED]

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31 e ust. 1 ustawy o z dnia 24 sierpnia 2004 roku o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2008 r. Nr 164, poz.1027 z późn .zm.) w związku z art. 39 ust. 3 ustawy z dnia 12 maja 2012 roku o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. Nr 122, poz. 696 z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu ws. zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego nr AOTM-DS-434-1/2013, „Zbadanie zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego Orap (Pimozidum) tabletki á 1 mg i 4 mg we wskazaniu: zespół tików głosowych i ruchowych – zespół Gillesa de la Tourette’a, zespół tików przewlekłych, zespół tików przejściowych, choroba Leigh”, 3 kwietnia 2013 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 60/2013 z dnia 8 kwietnia 2013 r.

w sprawie objęcia refundacją leku Protelos (ranelinian strontu) we wskazaniu: leczenie osteoporozy u pacjentek w wieku powyżej 65 lat ze stwierdzoną pierwotną osteoporozą pomenopauzalną (T-Score mniejsze lub równe 2,5 mierzone metodą DXA), ze złamaniem kręgowym lub złamaniem biodra, po niepowodzeniu leczenia bisfosfonianami lub z przeciwwskazaniami (nietolerancją) do stosowania doustnych bisfosfonianów.

Rada Przejrzystości uważa za zasadne zakwalifikowanie leku Protelos (ranelinian strontu) Kod EAN 5909990002085 jako świadczenia gwarantowanego we wskazaniu „Leczenie osteoporozy u pacjentek w wieku powyżej 65 lat ze stwierdzoną pierwotną osteoporozą pomenopauzalną (T-Score mniejsze lub równe 2,5 mierzone metodą DXE), ze złamaniem kręgowym lub złamaniem biodra, po niepowodzeniu leczenia bisfosfonianami lub przeciwwskazaniami (nietolerancją) do stosowania bisfosfonianów. Rada sugeruje stosowanie doustnych form ranelinianu strontu (2g, 28 saszetek) przy 30% odpłatności pacjentki. Rada sugeruje finansowanie w ramach wspólnej grupy limitowej wraz z denosumabem. Rada uważa instrument podziału ryzyka za niewystarczający.

Uzasadnienie

W opinii Rady Przejrzystości efektywność kliniczna Protelosu jest udowodniona i wydaje się być zbliżona do skuteczności denosumabu.

Przedmiot wniosku

Przedmiotem wniosku jest zlecenie Ministra Zdrowia dotyczące przygotowania analizy weryfikacyjnej AOTM, stanowiska Rady Przejrzystości oraz rekomendacji Prezesa AOTM na podstawie art. 35 ust. 1 ustawy o refundacji w przedmiocie objęcia refundacją produktu leczniczego Protelos (ranelinian strontu) 2 g, 28 saszetek, kod EAN 5909990002085, we wskazaniu leczenie osteoporozy u pacjentek w wieku powyżej 65 lat ze stwierdzoną pierwotną osteoporozą pomenopauzalną (T-Score mniejsze lub równe 2,5 mierzone metodą DXA), ze złamaniem kręgowym lub złamaniem biodra, po niepowodzeniu leczenia bisfosfonianami lub przeciwwskazaniami (nietolerancją) do stosowania doustnych bisfosfonianów.

W 2008 roku w AOTM rozpatrywany był wniosek o umieszczenie w wykazach leków refundowanych wnioskowanego produktu leczniczego w leczeniu osteoporozy pomenopauzalnej w celu zmniejszenia ryzyka złamań kręgow i szyjki kości udowej u pacjentek powyżej 80 roku życia. Rada Konsultacyjna rekomendowała niefinansowanie Protelosu w ww. wskazaniu. W uzasadnieniu podano, że ranelinian strontu jest lekiem o udowodnionym działaniu zmniejszającym częstość złamań u kobiet



z osteoporozą, a jego efektywność jest podobna do bisfosfonianów, ale badania jego skuteczności i bezpieczeństwa były prowadzone przez względnie krótki okres (5 lat). Wskazano, że lek jest mniej efektywny kosztowo niż stosowane obecnie w Polsce doustne bisfosfoniany (Uchwała nr 46/12/2008).

Problem zdrowotny

Osteoporoza jest chorobą tkanki kostnej, charakteryzującą się obniżeniem jej masy i jakości, co w konsekwencji prowadzi do zmniejszenia wytrzymałości mechanicznej szkieletu i większej podatności na złamania. Najczęściej dochodzi do złamań kręgow, które są przyczyną obniżenia wzrostu i deformacji sylwetki związanych z pogłębieniem kifozy piersiowej, a także zmniejszenia pojemności płuc, utrudnienia odpływu żylnego z dolnej połowy ciała i wzrostu śmiertelności. Spośród złamań pozakręgowych, do których zalicza się te dotyczące piszczeli, kości promieniowej, ramieniowej, udowej, żeber i miednicy, najgroźniejsze są złamania bliższego odcinka kości udowej.

Populacja wnioskowana dotyczy kobiet cierpiących na osteoporozę pomenopauzalną, która jest jednym z rodzajów osteoporozy pierwotnej (inwolucyjnej). Osteoporoza pomenopauzalna związana jest z zaburzeniami gospodarki hormonów płciowych z następczym nadmiernym indukowaniem aktywności osteoklastów.

Opis wnioskowanej technologii medycznej

Protelos (ranelinian strontu, kod ATC: M05BX03), granulát do sporządzania zawiesiny doustnej, 28 saszetek.

In vivo ranelinian strontu:

- zwiększa odbudowę kości w hodowlach komórek tkanki kostnej;
- zwiększa replikację prekursorów osteoblastów oraz syntezę kolagenu w hodowlach komórek kostnych;
- zmniejsza resorpcję kości przez zmniejszenie różnicowania się osteoklastów i zmniejszenie ich aktywności resorpcyjnej.

Powoduje to przywrócenie równowagi obrotu kostnego na korzyść procesu odbudowy kości.

Lek został dopuszczony do obrotu 21 września 2004 w ramach procedury centralnej. Wskazania rejestracyjne obejmują:

- leczenie osteoporozy u kobiet po menopauzie w celu zmniejszenia ryzyka złamań kręgow i szyjki kości udowej;
- leczenie osteoporozy u dorosłych mężczyzn ze zwiększonym ryzykiem złamań.

Alternatywne technologie medyczne

Jako komparator dla Protelosu wnioskodawca wskazał produkt leczniczy Prolia (denosumab). Wybór ten uznano za zasadny. W opinii analityków Agencji, komparatorem dla Protelosu może być także leczenie objawowe wit. D oraz wapniem.

Skuteczność kliniczna i bezpieczeństwo

W ramach przeglądu systematycznego nie wyszukano badań bezpośrednio porównujących ranelinian strontu (SR) z denosumabem (DEN) u kobiet z osteoporozą pomenopauzalną. Dostępne badania RCT dotyczą m.in. bezpośredniego porównania SR vs placebo (PLC, badania STRATOS, SOTI i TROPOS) oraz DEN vs PLC (badanie FREEDOM).

Charakterystyki pacjentek włączanych do odnalezionych badań oraz tych z populacji wnioskowanej różnią się (żadne z badań nie zostało przeprowadzone w populacji po niepowodzeniu leczenia bisfosfonianami lub z nietolerancją lub przeciwwskazaniami do stosowania doustnych bisfosfonianów; w badaniu SOTI kobiet po wcześniejszych złamaniach było 88%, brak jest takich danych dla badania STRATOS, natomiast w badaniu TROPOS i FREEDOM analogiczne odsetki wynosiły

odpowiednio 54,8% i 48%). Nie jest pewne, czy wyniki uzyskane w wyszukanych badaniach są reprezentatywne dla wnioskowanej populacji.

Badania STRATOS, SOTI i TROPOS były badaniami rejestracyjnymi. Badanie STRATOS było badaniem II fazy nad optymalną dawką SR i skupiało się przede wszystkim na pomiarze BMD w odcinku lędźwiowym kręgosłupa. Z kolei badania SOTI i TROPOS były badaniami typu pivotal, superiority. W badaniu SOTI I-rzędowym punktem końcowym (PK) było wystąpienie nowych złamań kręgowych, a w badaniu TROPOS – wystąpienie złamań pozakręgowych. W obu badaniach główna ocena statystyczna wykonywana była po 3 latach, zastosowano analizę mITT.

Badanie FREEDOM było badaniem rejestracyjnym, typu pivotal, superiority, którego podwójnie zaślepią faza dwuramienna trwała 3 lata. I-rzędowym PK były nowe złamania kręgowo. Główną ocenę statystyczną wykonano po 3 latach z zastosowaniem analizy mITT.

Wyniki skuteczności SR vs PLC:

- nowe złamania kręgowo – w badaniu TROPOS, w populacji mieszanej po 3, jak i po 5 latach odsetek pacjentek z nowymi złamaniami kręgowymi w grupie SR był istotnie statystycznie mniejszy niż w grupie PLC (RR=0,55 [95% CI: 0,45; 0,67] i RR=0,80 [95% CI:0,70; 0,92]). W populacji z wcześniejszymi złamaniami kręgowymi w badaniu SOTI po 1, 3 oraz 4 roku odsetek ten był również istotnie statystycznie mniejszy w grupie SR w porównaniu do grupy PLC (RR=0,53 [95% CI:0,37; 0,75], RR=0,64 [95% CI:0,53; 0,76], RR=0,75 [95% CI:0,64; 0,87]). W wyodrębnionej z badania TROPOS subpopulacji pacjentek z co najmniej jednym wcześniejszym złamaniem kręgowym po 3 latach również wykazano przewagę SR nad PLC istotną statystycznie (RR=0,72 [95% CI:0,59; 0,87]). W badaniu STRATOS zarówno po 1, jak i po 2 roku obserwacji nie wykazano różnic istotnych statystycznie.

- kliniczne złamania kręgowo – zarówno po 1, jak i po 3 i 4 roku istotnie statystycznie mniejszy był odsetek pacjentek z klinicznymi złamaniami kręgowymi w grupie SR w porównaniu do grupy PLC (RR=0,48 [95% CI:0,29; 0,79], RR=0,65 [95% CI:0,50; 0,84], RR=0,68 [95% CI:0,54; 0,86]). Brak jest danych z innych badań.

- wielokrotne złamanie kręgowo – w badaniu SOTI po 3 roku w grupie SR odsetek pacjentek doznających wielokrotnych złamań kręgowych był istotnie statystycznie mniejszy w porównaniu do grupy PLC (RR=0,65 [95% CI:0,46; 0,93]). Parametru tego nie analizowano w innych badaniach.

- złamania pozakręgowo ogółem – w populacji mieszanej badania TROPOS odsetek pacjentek ze złamaniami pozakręgowymi ogółem był istotnie statystycznie mniejszy w grupie SR w porównaniu do grupy PLC w 4 i 5 roku (RR=0,83 [95% CI:0,71;0,97], RR=0,86 [95% CI:0,75; 0,99]). Wcześniejsze obserwacje po 1, 2 oraz 3 latach dawały odsetki w grupach bardzo do siebie zbliżone. W populacji z wcześniejszymi złamaniami kręgosłupa po 2 latach w badaniu STRATOS oraz po 3 latach w badaniu SOTI różnice w odsetku kobiet ze złamaniami pozakręgowymi ogółem między grupami były rzędu 1% i nie osiągnęły poziomu istotności statystycznej.

- złamania pozakręgowo ze względu na lokalizację – istotnie statystycznie mniejszy odsetek pacjentów w grupie SR w porównaniu do grupy PLC doznawał złamań kości ramienna zarówno po 3 latach (RR=0,53 [95% CI:0,29, 0,94]) jak i po 5 latach (RR=0,60 [95% CI:0,37; 0,97]) oraz złamań żebramostka po 5 latach (RR=0,60 [95% CI:0,40; 0,90]). Dla złamań w obrębie BKKU, miednicy/kości krzyżowej, nadgarstka i obojczyka po 3 i 5 latach, a żebramostka po 3 latach nie wykazano między grupami różnic istotnych statystycznie. Analizy wszystkich złamań o określonej lokalizacji skumulowane w postaci punktu końcowego – poważne złamania kręgowo – zarówno po 3, jak i po 5 latach wykazały istotnie statystycznie mniejszy odsetek kobiet w grupie SR w porównaniu do grupy PLC doznających takich złamań (RR=0,84 [95% CI:0,71; 0,996] i RR=0,84 [95% CI:0,71;0,98]).

Wyniki skuteczności DEN vs PLC badania FREEDOM po 3 latach:

- złamania kręgowo i pozakręgowo – w grupie DEN stwierdzono istotnie statystycznie mniejsze niż w grupie PLC odsetki kobiet z nowymi złamaniami kręgowymi (RR=0,32 [95% CI:0,26; 0,41]), jawnymi klinicznie złamaniami kręgowymi (RR=0,32 [95% CI:0,21; 0,48]), wielokrotnymi złamaniami kręgowymi

(RR=0,39 [95% CI:0,24; 0,63]) oraz złamaniami pozakręgowymi ogółem (RR=0,81 [95% CI:0,69; 0,96]) i BKKU (RR=0,61 [95% CI:0,37; 0,98]).

- złamania pozakręgowie ze względu na lokalizację – w grupie DEN stwierdzono istotnie statystycznie mniejsze niż w grupie PLC odsetki kobiet z nowymi złamaniami BKKU niskoenergetycznymi (RR=0,61 [95% CI:0,37; 0,98]) oraz wszystkimi nowymi złamaniami pozakręgowymi (złożony PK – suma złamań BKKU, kości ramienia, miednicy, nadgarstka, obojczyka, żebra/mostka, RR=0,84 [95% CI:0,72 ; 0,99]). Nie wykazano różnic istotnych statystycznie między DEN a PLC w odniesieniu do ryzyka złamania BKKU ogółem, kości ramienia, miednicy, nadgarstka, obojczyka, żebra/mostka.

Wyniki bezpieczeństwa SR vs PLC:

Analiza dostępnych danych wskazuje, że w badaniu SOTI po 2 latach i w badaniu TROPOS po 5 latach dochodziło do istotnie statystycznie większej liczby wycofań pacjentek z powodów bezpieczeństwa w grupie SR w porównaniu z grupą PLC (RR=1,45 [95% CI:91,14; 1,85] i RR=1,12 [95% CI:1,01; 1,24]).

SR w porównaniu z PLC nie zwiększał w sposób istotny statystycznie ryzyka zdarzeń niepożądanych (AF) ogółem, ciężkich zdarzeń niepożądanych ani zgonów w jakimkolwiek badaniu i w jakimkolwiek czasie – odsetki pacjentek zazwyczaj nie różniły się znacznie między grupami. Ponadto, SR istotnie statystycznie zwiększał ryzyko: zapalenia i wyprysku skórnoego po 3 latach w badaniu TROPOS, bólu głowy po 3 latach w badaniu TROPOS, biegunki po 3 latach w badaniu SOTI oraz po 3 i 5 latach w badaniu TROPOS i nudności po 3 i 5 latach w badaniu TROPOS. W pozostałych niż wskazane okresach obserwacji powyższe AF nie wykazywały istotności statystycznej i różnice w ryzykach między grupami SR a PLC nie przekraczały 4%. Warto zwrócić uwagę na występowanie epizodów zakrzepicy żyłnej i zatorowości, które mogą być śmiertelne w skutkach. Zdarzenia te występowały z częstością 0,4%-1% rocznie. Tym niemniej porównanie ich częstości w grupach nie wskazuje, by miały przyczynowy związek ze stosowaniem SR (różnice są nieznamienne statystycznie, dla badania TROPOS występowały u 2,7% osób z grupy RS i 2,1% z grupy PLC).

Wyniki bezpieczeństwa DEN vs PLC z badania FREEDOM po 3 latach:

Nie dochodziło do istotnie statystycznie większej liczby wycofań pacjentek z powodów bezpieczeństwa w grupie DEN w porównaniu z grupą PLC. DEN w porównaniu z PLC nie zwiększał w sposób istotny statystycznie ryzyka wystąpienia zdarzeń niepożądanych ogółem, ciężkich zdarzeń niepożądanych ani zgonów – odsetki pacjentek różniły się między grupami o nie więcej niż 1%. W grupie DEN w porównaniu do PLC znamienne statystycznie częściej występowały: zakaźne zapalenie tkanki łącznej podskórnej (w tym róża, RR=11,97 [95% CI:1,56; 92,1]), wyprysk (RR=1,81 [95% CI:1,34; 2,44]), wzdęcia (RR=1,58 [95% CI:1,12; 2,22]), a znamienne statystycznie rzadziej – upadki (RR=0,80 [95% CI:0,66; 0,97]).

W listopadzie 2007 roku Europejska Agencja ds. Leków poinformowała o konieczności umieszczenia informacji o ryzyku występowania ciężkich reakcji alergicznych związanych ze stosowaniem SR, takich jak zespół DRESS (Drug Rash with Eosinophilia and Systemic Symptoms), czy zespołu Stevensa-Johnsona, które należą do stanów zagrażających życiu. Zgodnie z ostrzeżeniami zamieszczonymi w ChPL pacjentom zaleca się zaprzestanie przyjmowania leku w momencie pojawiania się niepokojących zmian skórnych. W przypadku przerwania terapii ze względu na wystąpienie któregoś z działań niepożądanych, przyjmowanie leku nie powinno być wznowiane. W większości przypadków objawy przemijały po przerwaniu terapii Protelosem i po wdrożeniu leczenia kortykosteroidami. Ustępowanie objawów może być powolne i raportowano niekiedy nawroty zespołu po odstawieniu leczenia kortykosteroidami. W oparciu o najnowsze dane dotyczące ryzyka powikłań zakrzepowo-zatorowych, EMA zarekomendowała w 2012 roku wpisanie żyłnej choroby zakrzepowo-zatorowej (ŻChZZ; trwającej lub stwierdzonej w wywiadzie) oraz stanu unieruchomienia jako przeciwwskazań do stosowania ranelinianu strontu (EMA 2007, EMA 2012).

Skuteczność praktyczna

Nie dotyczy.

Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka

Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

Przeprowadzono analizę kosztów-konsekwencji, dla której zestawiono koszty i konsekwencje zdrowotne stosowania SR oraz DEN. Analizę przeprowadzono w dożywotnym horyzoncie czasowym z perspektywy płatnika publicznego i wspólnej (płatnika publicznego i pacjenta). W analizie wnioskodawcy przedstawiono model oparty na mikrosymulacji.

Do głównych ograniczeń przedstawionej analizy należą: niewłaściwa implementacja parametru „porzucanie terapii”, brak porównania z brakiem leczenia (wit. D + wapń), niemożliwe do weryfikacji dane wejściowe do modelu, brak porównania z DEN w postaci współczynnika kosztów użyteczności.

W przedstawionym przez wnioskodawcę modelu (w wariantach podstawowym) w perspektywie wspólnej w wariantach [redacted] oszacowano średnie dożywotnie koszty stosowania SR (łącznie z leczeniem złamań) na [redacted], zaś odpowiadające koszty dla DEN wyniosły [redacted]. W wariantach [redacted] odpowiednie wartości wyniosły dla SR [redacted], a dla DEN – [redacted]. Oszacowane średnie efekty zdrowotne wyniosły dla SR [redacted], zaś dla DEN [redacted]. Przy wartościach CUR oszacowanych w analizie podstawowej, cena zbytu netto produktu leczniczego Protelos, przy której wartość współczynnika CUR dla SR jest równa wartości współczynnika CUR dla DEN, wynosi [redacted] zł w wariantach [redacted] w wariantach [redacted]. Należy mieć na uwadze, iż w związku z wskazanymi ograniczeniami wyniki te są błędne.

Dodatkowo przeprowadzono dodatkowe obliczenia, w których porównywano roczny koszt stosowania SR i DEN. Cena zbytu netto produktu leczniczego Protelos, przy której koszt stosowania SR jest równy kosztowi stosowania DEN, wynosi [redacted] w wariantach [redacted] i [redacted] w wariantach [redacted].

W związku z niewłaściwą implementacją parametru „porzucanie terapii” zdecydowano się przeprowadzić obliczenia przy założeniu braku porzucania terapii w grupie SR i DEN. W porównaniu do wariantu podstawowego w analizie wnioskodawcy przyjęto skuteczność zapobiegania złamaniom z rozróżnieniem typu złamania pozakręgowego (w wariantach podstawowych w analizie wnioskodawcy bez rozróżnienia). W wariantach [redacted] z perspektywy wspólnej płatnika i pacjenta oszacowano średnie dożywotnie koszty stosowania SR (łącznie z leczeniem złamań) na [redacted], zaś odpowiadające koszty dla DEN wyniosły [redacted]. Oszacowane średnie efekty zdrowotne wyniosły dla SR [redacted], zaś dla DEN [redacted]. Wartości te odpowiadają współczynnikom CUR dla SR – [redacted] a dla DEN – [redacted]. Cena zbytu netto produktu leczniczego Protelos, przy której wartość współczynnika CUR dla SR jest równa wartości współczynnika CUR dla DEN, [redacted].

Wpływ na budżet płatnika publicznego

W analizie wpływu na budżet populację, w której wnioskowany lek będzie stosowany, oszacowano w opcji populacyjnej [redacted], natomiast w opcji sprzedażowej na [redacted].

Według modelu przedstawionego przez wnioskodawcę przy założeniu przez SR i DEN wspólnej grupy limitowej w wariantach analizy [redacted] podjęcie pozytywnej decyzji o finansowaniu produktu leczniczego Protelos spowoduje [redacted] wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych w opcji populacyjnej [redacted].

[redacted], natomiast w opcji sprzedażowej [redacted] wydatków [redacted]. W wariantach [redacted] wydatków wyniesie odpowiednio w opcji populacyjnej [redacted], natomiast w opcji sprzedażowej [redacted].

Największym ograniczeniem analizy wnioskodawcy jest brak uwzględnienia w obliczeniach kosztów leczenia złamań (uwzględniono jedynie koszty zakupu leków).

Rozwiązania proponowane w analizie racjonalizacyjnej

Przedstawione w analizie racjonalizacyjnej rozwiązanie ([REDACTED]) pozwoli na uwolnienie środków finansowych w wielkości odpowiadającej wydatkom oszacowanym w analizie wpływu na budżet w zależności od przyjętego wariantu. [REDACTED]

Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej

SR oraz DEN są rekomendowane wraz z innymi lekami jako opcje terapeutyczne w leczeniu osteoporozy pomenopauzalnej przez organizacje zajmujące się problematyką osteoporozy. W 2011 roku HAS, w 2005 roku SMC, a w 2007 roku PBAC wydały pozytywne decyzje z odniesieniem do objęcia refundacją Protelosu w leczeniu kobiet z osteoporozą pomenopauzalną, jednak zauważyć należy, że uściślone populacje docelowe różniły się w pewnych zakresach od populacji z niniejszego wniosku refundacyjnego.

Dodatkowe uwagi Rady

Nie dotyczy.

Biorąc pod uwagę powyższe argumenty, Rada Przejrzystości przyjęła stanowisko jak na wstępie.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych nr: AOTM-OT-4350-2/2013, „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu produktu leczniczego Protelos (ranelinian strontu) we wskazaniu: leczenie osteoporozy u pacjentek w wieku powyżej 65 lat ze stwierdzoną pierwotną osteoporozą pomenopauzalną (T-score mniejsze lub równe -2,5 mierzone metodą DXA), ze złamaniem kręgowym lub złamaniem biodra, po niepowodzeniu leczenia bisfosfonianami lub przeciwwskazaniami (nietolerancją) do stosowania doustnych bisfosfonianów”, luty 2013 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 85/2013 z dnia 8 kwietnia 2013 r.
w sprawie objęcia refundacją leków wymienionych w załączniku
do pisma o sygn. MZ-PLA-460-13943-16/MM/13
w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania,
lub sposobu podawania odmiennych
niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego

Rada Przejrzystości wyraża negatywną opinię w sprawie objęcia refundacją we wnioskowanym wskazaniu pozarejestacyjnym (hipoglikemia reaktywna) leków zawierających substancję czynną akarboza, wymienionych poniżej:

L.p.	Nazwa, postać i dawka leku, zawartość opakowania, Kod EAN	Wskazanie pozarejestacyjne do oceny AOTM
Substancja czynna: acarbosum		
1	Adeksa, tabl., 100 mg, 30 tabl., 5909990893423	Hipoglikemia reaktywna
2	Glucobay 100, tabl., 100 mg, 30 tabl., 5909990285518	
3	Glucobay 50, tabl., 50 mg, 30 tabl., 5909990285419	
4	Glucobay 50, tabl., 50 mg, 90 tabl., 5909990335541	

Uzasadnienie

Dowody naukowe na skuteczność akarbozy w hipoglikemii reaktywnej są bardzo ograniczone.

Przedmiot zlecenia

Przedmiotem zlecenia Ministra Zdrowia było przygotowanie opinii Rady Przejrzystości w sprawie wydania z urzędu decyzji o objęciu refundacją leków wymienionych w załączniku do pisma zlecającego (pismo z dnia 27 marca 2013 r. o sygnaturze MZ-PLA-460-13943-16/MM/13). W załączniku wymieniono 4 substancje czynne - metforminę, akarbozę, karbamazepinę oraz wenlafaksynę (106 produktów leczniczych), które miałyby być refundowane we wskazaniach innych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego. Odpowiednie produkty lecznicze i wnioskowane wskazania pozarejestacyjne zawiera poniższa tabela.

L.p.	Nazwa, postać i dawka leku, zawartość opakowania, Kod EAN	Wskazanie pozarejestacyjne do oceny AOTM
Substancja czynna: metforminum		
1	Avamina, tabl. powl., 500 mg, 30 tabl., 5909990765379	1. Nieprawidłowa tolerancja glukozy (stan przedcukrzycowy); 2. Zespoły insulinooporności w przypadkach innych niż w przebiegu cukrzycy; 3. Zespół policystycznych jajników;
2	Avamina, tabl. powl., 500 mg, 60 tabl., 5909990765386	
3	Avamina, tabl. powl., 850 mg, 30 tabl., 5909990765393	
4	Avamina, tabl. powl., 850 mg, 60 tabl., 5909990765409	
5	Avamina, tabl. powl., 1000 mg, 30 tabl., 5909990765423	
6	Avamina, tabl. powl., 1000 mg, 60 kaps., 5909990765430	
7	Etform 500, tabl. powl., 500 mg, 60 tabl., 5909990698141	
8	Etform 500, tabl. powl., 500 mg, 90 tabl., 5909990698172	
9	Etform 850, tabl. powl., 850 mg, 60 tabl., 5909990698257	



Lp.	Nazwa, postać i dawka leku, zawartość opakowania, Kod EAN	Wskazanie pozarejestrycyjne do oceny AOTM
10	Etform 850, tabl. powł., 850 mg, 90 tabl., 5909990698271	
11	Formetic, tabl. powł., 500 mg, 30 tabl., 5909990078943	
12	Formetic, tabl. powł., 500 mg, 60 tabl., 5909990078950	
13	Formetic, tabl. powł., 1000 mg, 30 tabl., 5909990078974	
14	Formetic, tabl. powł., 1000 mg, 60 tabl., 5909990078981	
15	Formetic, tabl. powł., 850 mg, 30 tabl., 5909990079001	
16	Formetic, tabl. powł., 850 mg, 60 tabl., 5909990079025	
17	Glucophage, tabl. powł., 850 mg, blister 60 sztuk, 5909990789306	
18	Glucophage 1000, tabl. powł., 1000 mg, 30 tabl., 5909990717248	
19	Glucophage 500, tabl. powł., 500 mg, 30 tabl., 5909990789276	
20	Glucophage 850, tabl. powł., 850 mg, 30 tabl., 5909990789290	
21	Glucophage XR, tabl. o przedłużonym uwalnianiu, 750 mg, 30 tabl., 5909990213429	
22	Glucophage XR, tabl. o przedłużonym uwalnianiu, 750 mg, blister 60 sztuk, 5909990213436	
23	Glucophage XR, tabl. o przedłużonym uwalnianiu, 500 mg, 30 tabl., 5909990624751	
24	Glucophage XR, tabl. o przedłużonym uwalnianiu, 500 mg, blister 60 sztuk, 5909990624768	
25	Glucophage XR, tabl. o przedłużonym uwalnianiu, 1000 mg, 60 tabl., 5909990864461	
26	Metfogamma 1000, tabl. powł., 1000 mg, 30 tabl., 5909990654598	
27	Metfogamma 500, tabl. powł., 500 mg, 30 tabl., 5909991033019	
28	Metfogamma 850, tabl. powł., 850 mg, 30 tabl., 5909991032913	
29	Metformax 1000, tabl. powł., 1000 mg, 30 tabl., 5909990053056	
30	Metformax 500, tabl., 500 mg, 30 tabl., 5909990126316	
31	Metformax 850, tabl., 850 mg, 30 tabl., 5909990450718	
32	Metformax SR 500, tabl. o przedłużonym uwalnianiu, 500 mg, 30 tabl., 5909990652112	
33	Metformin Bluefish, tabl. powł., 500 mg, 30 tabl., 5909990705474	
34	Metformin Bluefish, tabl. powł., 850 mg, 30 tabl., 5909990705726	
35	Metformin Bluefish, tabl. powł., 1000 mg, 30 tabl., 5909990705894	
36	Metformin Galena, tabl., 500 mg, 30 tabl., 5909990462018	
37	Metformin Galena, tabl., 850 mg, 30 tabl., 5909990928019	
38	Metifor, tabl., 500 mg, 30 tabl., 5909990495115	
39	Metral, tabl., 500 mg, 30 tabl., 5909991090319	
40	Metral, tabl., 850 mg, 30 tabl., 5909991090418	
41	Siofor 1000, tabl. powł., 1000 mg, 30 tabl., 5909990220984	
42	Siofor 1000, tabl. powł., 1000 mg, 60 tabl., 5909990220991	
43	Siofor 1000, tabl. powł., 1000 mg, 90 tabl., 5909990221004	
44	Siofor 1000, tabl. powł., 1000 mg, 120 tabl., 5909990221028	
45	Siofor 500, tabl. powł., 500 mg, 30 tabl., 5909990457212	
46	Siofor 500, tabl. powł., 500 mg, 60 tabl., 5909990457229	
47	Siofor 850, tabl. powł., 850 mg, 30 tabl., 5909990457311	
Substancja czynna: acarbosum		
48	Adeksa, tabl., 100 mg, 30 tabl., 5909990893423	
49	Glucobay 100, tabl., 100 mg, 30 tabl., 5909990285518	
50	Glucobay 50, tabl., 50 mg, 30 tabl., 5909990285419	
51	Glucobay 50, tabl., 50 mg, 90 tabl., 5909990335541	Hipoglikemia reaktywna
Substancja czynna: carbamazepinum		
52	Neurotop retard 300, tabl. o przedłużonym uwalnianiu, 300 mg, 50 tabl., 5909990244515	
53	Neurotop retard 600, tabl. o przedłużonym uwalnianiu, 600 mg, 50 tabl., 5909990244614	
54	Tegretol, zawiesina doustna, 20 mg/ml, 100 ml, 5909990341917	
55	Tegretol, zawiesina doustna, 20 mg/ml, 250 ml, 5909990341924	
56	Timonil 150 retard, tabl., 150 mg, 50 tabl., 5909990751013	
57	Timonil 300 retard, tabl., 300 mg, 50 tabl., 5909990751211	
58	Timonil 600 retard, tabl., 600 mg, 50 tabl., 5909990751310	Bólowa polineuropatia cukrzycowa
Substancja czynna: venlafaxinum		
59	Alventa, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 75 mg, 28 kaps., 5909990047895	
60	Alventa, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 150 mg, 28 kaps., 5909990047956	
61	Axyven, tabl. powł. o przedłużonym uwalnianiu, 37,5 mg, 28 tabl., 5909990660636	Bólowa polineuropatia cukrzycowa

Lp.	Nazwa, postać i dawka leku, zawartość opakowania, Kod EAN	Wskazanie pozarejestrycyjne do oceny AOTM
62	Axyven, tabl. powl. o przedłużonym uwalnianiu, 75 mg, 28 tabl., 5909990660643	
63	Axyven, tabl. powl. o przedłużonym uwalnianiu, 150 mg, 28 tabl., 5909990660650	
64	Efectin ER 150, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 150 mg, 28 kaps., 5909990494019	
65	Efectin ER 75, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 75 mg, 28 kaps., 5909990493913	
66	Efevelon SR, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 37,5 mg, 28 kaps., 5909990715299	
67	Efevelon SR, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 75 mg, 28 kaps., 5909990715350	
68	Efevelon SR, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 150 mg, 28 kaps., 5909990715374	
69	Faxigen XL 150 mg, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 150 mg, 28 kaps., 5909990721528	
70	Faxigen XL 37,5 mg, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 37,5 mg, 28 tabl., 5909990721498	
71	Faxigen XL 75 mg, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 75 mg, 28 tabl., 5909990721504	
72	Faxolet ER, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 37,5 mg, 28 kaps., 5909990691760	
73	Faxolet ER, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 150 mg, 28 kaps., 5909990691883	
74	Faxolet ER, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 75 mg, 28 kaps., 5909990691906	
75	Jarvis 75, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 75 mg, 30 kaps., 5909990077359	
76	Lafactin, kaps., 37,5 mg, 28 kaps., 5909990673728	
77	Lafactin, kaps., 75 mg, 28 kaps., 5909990673766	
78	Lafactin, kaps., 150 mg, 28 kaps., 5909990673803	
79	Oriven, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 75 mg, 28 kaps., 5909990795789	
80	Oriven, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 75 mg, 98 kaps., 5909990795796	
81	Oriven, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 37,5 mg, 28 kaps., 5909990795802	
82	Oriven, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 37,5 mg, 98 kaps., 5909990795819	
83	Oriven, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 150 mg, 28 kaps., 5909990795826	
84	Oriven, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 150 mg, 98 kaps., 5909990795833	
85	Prefaxine, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 37,5 mg, 28 kaps., 5909990727490	
86	Prefaxine, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 75 mg, 28 kaps., 5909990727506	
87	Prefaxine, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 150 mg, 28 kaps., 5909990727520	
88	Symfaksin ER, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 150 mg, 28 kaps., 5909990048106	
89	Symfaksin ER, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 75 mg, 28 kaps., 5909990048397	
90	Symfaksin ER, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 37,5 mg, 20 kaps., 5909990048403	
91	Velafax, tabl., 37,5 mg, 28 tabl., 5909991093815	
92	Velafax, tabl., 37,5 mg, 56 tabl., 5909991093822	
93	Velafax, tabl., 75 mg, 28 tabl., 5909991093914	
94	Velafax, tabl., 75 mg, 56 tabl., 5909991093921	
95	Velafax XL, kaps. o zmodyfikowanym uwalnianiu, 75 mg, 28 kaps., 5909990626670	
96	Velafax XL, kaps. o zmodyfikowanym uwalnianiu, 150 mg, 28 kaps., 5909990626724	
97	Velaxin ER, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, 37,5 mg, 28 kaps., 5909990055982	
98	Velaxin ER, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, 75 mg, 28 kaps., 5909990056279	
99	Velaxin ER, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, 150 mg, 28 kaps., 5909990056293	
100	Venlabax MR 150, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 150 mg, 28 kaps., 5909990719327	
101	Venlabax MR 75, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 75 mg, 28 kaps., 5909990719259	
102	Venlafaxine Bluefish XL, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 75 mg, 28 kaps., 5909990767601	
103	Venlafaxine Bluefish XL, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 150 mg, 28 kaps., 5909990767625	
104	Venlectine, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, 37,5 mg, 28 kaps., 5909990040971	
105	Venlectine, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, 75 mg, 28 kaps., 5909990040995	
106	Venlectine, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, 150 mg, 28 kaps., 5909990424672	

Problem zdrowotny

Wymienione w zleceniu substancje czynne, wnioskowane są do stosowania w następujących wskazaniach pozarejestacyjnych: nieprawidłowa tolerancja glukozy (stan przedcukrzycowy), zespoły insulinooporności w przypadkach innych niż w przebiegu cukrzycy, zespół policystycznych jajników, hipoglikemia reaktywna oraz bólowa polineuropatia cukrzycowa.

.....

██

██

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 p. 5 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz.U. 2004 Nr 210 poz. 2135 z późn. zm.) w związku z art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. 2011 nr 122 poz. 696 z późn. zm.).



Opinia Rady Przejrzystości
nr 86/2013 z dnia 8 kwietnia 2013 r.
w sprawie objęcia refundacją leków wymienionych w załączniku
do pisma o sygn. MZ-PLA-460-13943-16/MM/13
w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania,
lub sposobu podawania odmiennych
niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego

Rada Przejrzystości wyraża pozytywną opinię w sprawie objęcia refundacją we wnioskowanych wskazaniach pozarejestacyjnych leków zawierających substancje czynne: metformina, karbamazepina, wenlafaksyna, wymienionych poniżej:

L.p.	Nazwa, postać i dawka leku, zawartość opakowania, Kod EAN	Wskazanie pozarejestacyjne do oceny AOTM
Substancja czynna: metforminum		
1	Avamina, tabl. powł., 500 mg, 30 tabl., 5909990765379	1. Nieprawidłowa tolerancja glukozy (stan przedcukrzycowy); 2. Zespoły insulinooporności w przypadkach innych niż w przebiegu cukrzycy; 3. Zespół policystycznych jajników;
2	Avamina, tabl. powł., 500 mg, 60 tabl., 5909990765386	
3	Avamina, tabl. powł., 850 mg, 30 tabl., 5909990765393	
4	Avamina, tabl. powł., 850 mg, 60 tabl., 5909990765409	
5	Avamina, tabl. powł., 1000 mg, 30 tabl., 5909990765423	
6	Avamina, tabl. powł., 1000 mg, 60 kaps., 5909990765430	
7	Etform 500, tabl. powł., 500 mg, 60 tabl., 5909990698141	
8	Etform 500, tabl. powł., 500 mg, 90 tabl., 5909990698172	
9	Etform 850, tabl. powł., 850 mg, 60 tabl., 5909990698257	
10	Etform 850, tabl. powł., 850 mg, 90 tabl., 5909990698271	
11	Formetic, tabl. powł., 500 mg, 30 tabl., 5909990078943	
12	Formetic, tabl. powł., 500 mg, 60 tabl., 5909990078950	
13	Formetic, tabl. powł., 1000 mg, 30 tabl., 5909990078974	
14	Formetic, tabl. powł., 1000 mg, 60 tabl., 5909990078981	
15	Formetic, tabl. powł., 850 mg, 30 tabl., 5909990079001	
16	Formetic, tabl. powł., 850 mg, 60 tabl., 5909990079025	
17	Glucophage, tabl. powł., 850 mg, blister 60 sztuk, 5909990789306	
18	Glucophage 1000, tabl. powł., 1000 mg, 30 tabl., 5909990717248	
19	Glucophage 500, tabl. powł., 500 mg, 30 tabl., 5909990789276	
20	Glucophage 850, tabl. powł., 850 mg, 30 tabl., 5909990789290	
21	Glucophage XR, tabl. o przedłużonym uwalnianiu, 750 mg, 30 tabl., 5909990213429	
22	Glucophage XR, tabl. o przedłużonym uwalnianiu, 750 mg, blister 60 sztuk, 5909990213436	
23	Glucophage XR, tabl. o przedłużonym uwalnianiu, 500 mg, 30 tabl., 5909990624751	
24	Glucophage XR, tabl. o przedłużonym uwalnianiu, 500 mg, blister 60 sztuk, 5909990624768	
25	Glucophage XR, tabl. o przedłużonym uwalnianiu, 1000 mg, 60 tabl., 5909990864461	
26	Metfogamma 1000, tabl. powł., 1000 mg, 30 tabl., 5909990654598	
27	Metfogamma 500, tabl. powł., 500 mg, 30 tabl., 5909991033019	
28	Metfogamma 850, tabl. powł., 850 mg, 30 tabl., 5909991032913	
29	Metformax 1000, tabl. powł., 1000 mg, 30 tabl., 5909990053056	
30	Metformax 500, tabl., 500 mg, 30 tabl., 5909990126316	
31	Metformax 850, tabl., 850 mg, 30 tabl., 5909990450718	



Lp.	Nazwa, postać i dawka leku, zawartość opakowania, Kod EAN	Wskazanie pozarejestrycyjne do oceny AOTM
32	Metformax SR 500, tabl. o przedłużonym uwalnianiu, 500 mg, 30 tabl., 5909990652112	
33	Metformin Bluefish, tabl. powl., 500 mg, 30 tabl., 5909990705474	
34	Metformin Bluefish, tabl. powl., 850 mg, 30 tabl., 5909990705726	
35	Metformin Bluefish, tabl. powl., 1000 mg, 30 tabl., 5909990705894	
36	Metformin Galena, tabl., 500 mg, 30 tabl., 5909990462018	
37	Metformin Galena, tabl., 850 mg, 30 tabl., 5909990928019	
38	Metifor, tabl., 500 mg, 30 tabl., 5909990495115	
39	Metral, tabl., 500 mg, 30 tabl., 5909991090319	
40	Metral, tabl., 850 mg, 30 tabl., 5909991090418	
41	Siofor 1000, tabl. powl., 1000 mg, 30 tabl., 5909990220984	
42	Siofor 1000, tabl. powl., 1000 mg, 60 tabl., 5909990220991	
43	Siofor 1000, tabl. powl., 1000 mg, 90 tabl., 5909990221004	
44	Siofor 1000, tabl. powl., 1000 mg, 120 tabl., 5909990221028	
45	Siofor 500, tabl. powl., 500 mg, 30 tabl., 5909990457212	
46	Siofor 500, tabl. powl., 500 mg, 60 tabl., 5909990457229	
47	Siofor 850, tabl. powl., 850 mg, 30 tabl., 5909990457311	
Substancja czynna: carbamazepinum		
48	Neurotop retard 300, tabl. o przedłużonym uwalnianiu, 300 mg, 50 tabl., 5909990244515	Bólowa polineuropatia cukrzycowa
49	Neurotop retard 600, tabl. o przedłużonym uwalnianiu, 600 mg, 50 tabl., 5909990244614	
50	Tegretol, zawiesina doustna, 20 mg/ml, 100 ml, 5909990341917	
51	Tegretol, zawiesina doustna, 20 mg/ml, 250 ml, 5909990341924	
52	Timonil 150 retard, tabl., 150 mg, 50 tabl., 5909990751013	
53	Timonil 300 retard, tabl., 300 mg, 50 tabl., 5909990751211	
54	Timonil 600 retard, tabl., 600 mg, 50 tabl., 5909990751310	
Substancja czynna: venlafaxinum		
55	Alventa, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 75 mg, 28 kaps., 5909990047895	Bólowa polineuropatia cukrzycowa
56	Alventa, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 150 mg, 28 kaps., 5909990047956	
57	Axyven, tabl. powl. o przedłużonym uwalnianiu, 37,5 mg, 28 tabl., 5909990660636	
58	Axyven, tabl. powl. o przedłużonym uwalnianiu, 75 mg, 28 tabl., 5909990660643	
59	Axyven, tabl. powl. o przedłużonym uwalnianiu, 150 mg, 28 tabl., 5909990660650	
60	Efectin ER 150, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 150 mg, 28 kaps., 5909990494019	
61	Efectin ER 75, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 75 mg, 28 kaps., 5909990493913	
62	Efevelon SR, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 37,5 mg, 28 kaps., 5909990715299	
63	Efevelon SR, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 75 mg, 28 kaps., 5909990715350	
64	Efevelon SR, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 150 mg, 28 kaps., 5909990715374	
65	Faxigen XL 150 mg, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 150 mg, 28 kaps., 5909990721528	
66	Faxigen XL 37,5 mg, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 37,5 mg, 28 tabl., 5909990721498	
67	Faxigen XL 75 mg, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 75 mg, 28 tabl., 5909990721504	
68	Faxolet ER, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 37,5 mg, 28 kaps., 5909990691760	
69	Faxolet ER, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 150 mg, 28 kaps., 5909990691883	
70	Faxolet ER, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 75 mg, 28 kaps., 5909990691906	
71	Jarvis 75, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 75 mg, 30 kaps., 5909990077359	
72	Lafactin, kaps., 37,5 mg, 28 kaps., 5909990673728	
73	Lafactin, kaps., 75 mg, 28 kaps., 5909990673766	
74	Lafactin, kaps., 150 mg, 28 kaps., 5909990673803	
75	Oriven, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 75 mg, 28 kaps., 5909990795789	
76	Oriven, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 75 mg, 98 kaps., 5909990795796	
77	Oriven, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 37,5 mg, 28 kaps., 5909990795802	
78	Oriven, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 37,5 mg, 98 kaps., 5909990795819	
79	Oriven, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 150 mg, 28 kaps., 5909990795826	
80	Oriven, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 150 mg, 98 kaps., 5909990795833	

L.p.	Nazwa, postać i dawka leku, zawartość opakowania, Kod EAN	Wskazanie pozarejestrycyjne do oceny AOTM
81	Prefaxine, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 37,5 mg, 28 kaps., 5909990727490	
82	Prefaxine, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 75 mg, 28 kaps., 5909990727506	
83	Prefaxine, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 150 mg, 28 kaps., 5909990727520	
84	Symfaksin ER, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 150 mg, 28 kaps., 5909990048106	
85	Symfaksin ER, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 75 mg, 28 kaps., 5909990048397	
86	Symfaksin ER, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 37,5 mg, 20 kaps., 5909990048403	
87	Velafax, tabl., 37,5 mg, 28 tabl., 5909991093815	
88	Velafax, tabl., 37,5 mg, 56 tabl., 5909991093822	
89	Velafax, tabl., 75 mg, 28 tabl., 5909991093914	
90	Velafax, tabl., 75 mg, 56 tabl., 5909991093921	
91	Velafax XL, kaps. o zmodyfikowanym uwalnianiu, 75 mg, 28 kaps., 5909990626670	
92	Velafax XL, kaps. o zmodyfikowanym uwalnianiu, 150 mg, 28 kaps., 5909990626724	
93	Velaxin ER, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, 37,5 mg, 28 kaps., 5909990055982	
94	Velaxin ER, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, 75 mg, 28 kaps., 5909990056279	
95	Velaxin ER, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, 150 mg, 28 kaps., 5909990056293	
96	Venlabax MR 150, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 150 mg, 28 kaps., 5909990719327	
97	Venlabax MR 75, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 75 mg, 28 kaps., 5909990719259	
98	Venlafaxine Bluefish XL, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 75 mg, 28 kaps., 5909990767601	
99	Venlafaxine Bluefish XL, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 150 mg, 28 kaps., 5909990767625	
100	Venlectine, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, 37,5 mg, 28 kaps., 5909990040971	
101	Venlectine, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, 75 mg, 28 kaps., 5909990040995	
102	Venlectine, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, 150 mg, 28 kaps., 5909990424672	

Uzasadnienie

Skuteczność metforminy, karbamazepiny i wenlafaksyny, stosowanych ze wskazań pozarejestrycyjnych w następujących stanach: nieprawidłowa tolerancja glukozy (stan przedcukrzycowy), zespoły insulinooporności w przypadkach innych niż w przebiegu cukrzycy, zespół policystycznych jajników (metformina), oraz bólowa polineuropatia cukrzycowa (karbamazepina i wenlafaksyna) została potwierdzona w badaniach naukowych.

Przedmiot zlecenia

Przedmiotem zlecenia Ministra Zdrowia było przygotowanie opinii Rady Przejrzystości w sprawie wydania z urzędu decyzji o objęciu refundacją leków wymienionych w załączniku do pisma zlecającego (pismo z dnia 27 marca 2013 r. o sygnaturze MZ-PLA-460-13943-16/MM/13). W załączniku wymieniono 4 substancje czynne - metforminę, akarbozę, karbamazepinę oraz wenlafaksynę (106 produktów leczniczych), które miałyby być refundowane we wskazaniach innych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego. Odpowiednie produkty lecznicze i wnioskowane wskazania pozarejestrycyjne zawiera poniższa tabela.

L.p.	Nazwa, postać i dawka leku, zawartość opakowania, Kod EAN	Wskazanie pozarejestrycyjne do oceny AOTM
Substancja czynna: metforminum		
1	Avamina, tabl. powł., 500 mg, 30 tabl., 5909990765379	1. Nieprawidłowa tolerancja glukozy (stan przedcukrzycowy); 2. Zespoły insulinooporności
2	Avamina, tabl. powł., 500 mg, 60 tabl., 5909990765386	
3	Avamina, tabl. powł., 850 mg, 30 tabl., 5909990765393	
4	Avamina, tabl. powł., 850 mg, 60 tabl., 5909990765409	
5	Avamina, tabl. powł., 1000 mg, 30 tabl., 5909990765423	

L.p.	Nazwa, postać i dawka leku, zawartość opakowania, Kod EAN	Wskazanie pozarejestrycyjne do oceny AOTM	
6	Avamina, tabl. powł., 1000 mg, 60 kaps., 5909990765430	w przypadkach innych niż w przebiegu cukrzycy; 3. Zespół policystycznych jajników;	
7	Etform 500, tabl. powł., 500 mg, 60 tabl., 5909990698141		
8	Etform 500, tabl. powł., 500 mg, 90 tabl., 5909990698172		
9	Etform 850, tabl. powł., 850 mg, 60 tabl., 5909990698257		
10	Etform 850, tabl. powł., 850 mg, 90 tabl., 5909990698271		
11	Formetic, tabl. powł., 500 mg, 30 tabl., 5909990078943		
12	Formetic, tabl. powł., 500 mg, 60 tabl., 5909990078950		
13	Formetic, tabl. powł., 1000 mg, 30 tabl., 5909990078974		
14	Formetic, tabl. powł., 1000 mg, 60 tabl., 5909990078981		
15	Formetic, tabl. powł., 850 mg, 30 tabl., 5909990079001		
16	Formetic, tabl. powł., 850 mg, 60 tabl., 5909990079025		
17	Glucophage, tabl. powł., 850 mg, blister 60 sztuk, 5909990789306		
18	Glucophage 1000, tabl. powł., 1000 mg, 30 tabl., 5909990717248		
19	Glucophage 500, tabl. powł., 500 mg, 30 tabl., 5909990789276		
20	Glucophage 850, tabl. powł., 850 mg, 30 tabl., 5909990789290		
21	Glucophage XR, tabl. o przedłużonym uwalnianiu, 750 mg, 30 tabl., 5909990213429		
22	Glucophage XR, tabl. o przedłużonym uwalnianiu, 750 mg, blister 60 sztuk, 5909990213436		
23	Glucophage XR, tabl. o przedłużonym uwalnianiu, 500 mg, 30 tabl., 5909990624751		
24	Glucophage XR, tabl. o przedłużonym uwalnianiu, 500 mg, blister 60 sztuk, 5909990624768		
25	Glucophage XR, tabl. o przedłużonym uwalnianiu, 1000 mg, 60 tabl., 5909990864461		
26	Metfogamma 1000, tabl. powł., 1000 mg, 30 tabl., 5909990654598		
27	Metfogamma 500, tabl. powł., 500 mg, 30 tabl., 5909991033019		
28	Metfogamma 850, tabl. powł., 850 mg, 30 tabl., 5909991032913		
29	Metformax 1000, tabl. powł., 1000 mg, 30 tabl., 5909990053056		
30	Metformax 500, tabl., 500 mg, 30 tabl., 5909990126316		
31	Metformax 850, tabl., 850 mg, 30 tabl., 5909990450718		
32	Metformax SR 500, tabl. o przedłużonym uwalnianiu, 500 mg, 30 tabl., 5909990652112		
33	Metformin Bluefish, tabl. powł., 500 mg, 30 tabl., 5909990705474		
34	Metformin Bluefish, tabl. powł., 850 mg, 30 tabl., 5909990705726		
35	Metformin Bluefish, tabl. powł., 1000 mg, 30 tabl., 5909990705894		
36	Metformin Galena, tabl., 500 mg, 30 tabl., 5909990462018		
37	Metformin Galena, tabl., 850 mg, 30 tabl., 5909990928019		
38	Metifor, tabl., 500 mg, 30 tabl., 5909990495115		
39	Metral, tabl., 500 mg, 30 tabl., 5909991090319		
40	Metral, tabl., 850 mg, 30 tabl., 5909991090418		
41	Siofor 1000, tabl. powł., 1000 mg, 30 tabl., 5909990220984		
42	Siofor 1000, tabl. powł., 1000 mg, 60 tabl., 5909990220991		
43	Siofor 1000, tabl. powł., 1000 mg, 90 tabl., 5909990221004		
44	Siofor 1000, tabl. powł., 1000 mg, 120 tabl., 5909990221028		
45	Siofor 500, tabl. powł., 500 mg, 30 tabl., 5909990457212		
46	Siofor 500, tabl. powł., 500 mg, 60 tabl., 5909990457229		
47	Siofor 850, tabl. powł., 850 mg, 30 tabl., 5909990457311		
Substancja czynna: acarbosum			
48	Adeksa, tabl., 100 mg, 30 tabl., 5909990893423		Hipoglikemia reaktywna
49	Glucobay 100, tabl., 100 mg, 30 tabl., 5909990285518		
50	Glucobay 50, tabl., 50 mg, 30 tabl., 5909990285419		
51	Glucobay 50, tabl., 50 mg, 90 tabl., 5909990335541		
Substancja czynna: carbamazepinum			
52	Neurotop retard 300, tabl. o przedłużonym uwalnianiu, 300 mg, 50 tabl., 5909990244515	Bólowa polineuropatia cukrzycowa	
53	Neurotop retard 600, tabl. o przedłużonym uwalnianiu, 600 mg, 50 tabl., 5909990244614		
54	Tegretol, zawiesina doustna, 20 mg/ml, 100 ml, 5909990341917		
55	Tegretol, zawiesina doustna, 20 mg/ml, 250 ml, 5909990341924		
56	Timonil 150 retard, tabl., 150 mg, 50 tabl., 5909990751013		
57	Timonil 300 retard, tabl., 300 mg, 50 tabl., 5909990751211		
58	Timonil 600 retard, tabl., 600 mg, 50 tabl., 5909990751310		

Lp.	Nazwa, postać i dawka leku, zawartość opakowania, Kod EAN	Wskazanie pozarejestrycyjne do oceny AOTM
Substancja czynna: venlafaxinum		
59	Alventa, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 75 mg, 28 kaps., 5909990047895	
60	Alventa, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 150 mg, 28 kaps., 5909990047956	
61	Axyven, tabl. powl. o przedłużonym uwalnianiu, 37,5 mg, 28 tabl., 5909990660636	
62	Axyven, tabl. powl. o przedłużonym uwalnianiu, 75 mg, 28 tabl., 5909990660643	
63	Axyven, tabl. powl. o przedłużonym uwalnianiu, 150 mg, 28 tabl., 5909990660650	
64	Efectin ER 150, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 150 mg, 28 kaps., 5909990494019	
65	Efectin ER 75, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 75 mg, 28 kaps., 5909990493913	
66	Efevelon SR, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 37,5 mg, 28 kaps., 5909990715299	
67	Efevelon SR, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 75 mg, 28 kaps., 5909990715350	
68	Efevelon SR, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 150 mg, 28 kaps., 5909990715374	
69	Faxigen XL 150 mg, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 150 mg, 28 kaps., 5909990721528	
70	Faxigen XL 37,5 mg, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 37,5 mg, 28 tabl., 5909990721498	
71	Faxigen XL 75 mg, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 75 mg, 28 tabl., 5909990721504	
72	Faxolet ER, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 37,5 mg, 28 kaps., 5909990691760	
73	Faxolet ER, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 150 mg, 28 kaps., 5909990691883	
74	Faxolet ER, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 75 mg, 28 kaps., 5909990691906	
75	Jarvis 75, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 75 mg, 30 kaps., 5909990077359	
76	Lafactin, kaps., 37,5 mg, 28 kaps., 5909990673728	
77	Lafactin, kaps., 75 mg, 28 kaps., 5909990673766	
78	Lafactin, kaps., 150 mg, 28 kaps., 5909990673803	
79	Oriven, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 75 mg, 28 kaps., 5909990795789	
80	Oriven, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 75 mg, 98 kaps., 5909990795796	
81	Oriven, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 37,5 mg, 28 kaps., 5909990795802	Bólowa polineuropatia cukrzycowa
82	Oriven, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 37,5 mg, 98 kaps., 5909990795819	
83	Oriven, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 150 mg, 28 kaps., 5909990795826	
84	Oriven, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 150 mg, 98 kaps., 5909990795833	
85	Prefaxine, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 37,5 mg, 28 kaps., 5909990727490	
86	Prefaxine, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 75 mg, 28 kaps., 5909990727506	
87	Prefaxine, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 150 mg, 28 kaps., 5909990727520	
88	Symfaxin ER, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 150 mg, 28 kaps., 5909990048106	
89	Symfaxin ER, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 75 mg, 28 kaps., 5909990048397	
90	Symfaxin ER, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 37,5 mg, 20 kaps., 5909990048403	
91	Velafax, tabl., 37,5 mg, 28 tabl., 5909991093815	
92	Velafax, tabl., 37,5 mg, 56 tabl., 5909991093822	
93	Velafax, tabl., 75 mg, 28 tabl., 5909991093914	
94	Velafax, tabl., 75 mg, 56 tabl., 5909991093921	
95	Velafax XL, kaps. o zmodyfikowanym uwalnianiu, 75 mg, 28 kaps., 5909990626670	
96	Velafax XL, kaps. o zmodyfikowanym uwalnianiu, 150 mg, 28 kaps., 5909990626724	
97	Velaxin ER, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, 37,5 mg, 28 kaps., 5909990055982	
98	Velaxin ER, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, 75 mg, 28 kaps., 5909990056279	
99	Velaxin ER, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, 150 mg, 28 kaps., 5909990056293	
100	Venlabax MR 150, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 150 mg, 28 kaps., 5909990719327	
101	Venlabax MR 75, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 75 mg, 28 kaps., 5909990719259	
102	Venlafaxine Bluefish XL, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 75 mg, 28 kaps., 5909990767601	
103	Venlafaxine Bluefish XL, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 150 mg, 28 kaps., 5909990767625	
104	Venlectine, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, 37,5 mg, 28 kaps., 5909990040971	

L.p.	Nazwa, postać i dawka leku, zawartość opakowania, Kod EAN	Wskazanie pozarejestrycyjne do oceny AOTM
105	Venlectine, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, 75 mg, 28 kaps., 5909990040995	
106	Venlectine, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, 150 mg, 28 kaps., 5909990424672	

Problem zdrowotny

Wymienione w zleceniu substancje czynne, wnioskowane są do stosowania w następujących wskazaniach pozarejestrycyjnych: nieprawidłowa tolerancja glukozy (stan przedcukrzycowy), zespoły insulinooporności w przypadkach innych niż w przebiegu cukrzycy, zespół policystycznych jajników, hipoglikemia reaktywna oraz bólowa polineuropatia cukrzycowa.

.....

████████████████████
████████████████

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 p. 5 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz.U. 2004 Nr 210 poz. 2135 z późn. zm.) w związku z art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. 2011 nr 122 poz. 696 z późn. zm.).



Opinia Rady Przejrzystości
nr 87/2013 z dnia 8 kwietnia 2013
o projekcie programu „Zwiększenie dostępności do podstawowych
badań przesiewowych u dzieci” gminy Odolanów

Rada Przejrzystości wydaje negatywną opinię o projekcie programu „Zwiększenie dostępności do podstawowych badań przesiewowych u dzieci” gminy Odolanów.

Uzasadnienie

Program „Zwiększenie dostępności do podstawowych badań przesiewowych u dzieci”, w którego skład wchodzi programy zdrowotne „NIE nowotworom u dzieci” oraz „Badanie przesiewowe słuchu”, nie jest zgodny ze schematem programu zdrowotnego zaproponowanym przez AOTM, brakuje w nim wielu istotnych informacji dotyczących realizacji programu, w tym szczegółowego opisu sposobu organizacji programu: części składowych, etapów organizacyjnych, zasad udzielania świadczeń w ramach programu, sposobu zakończenia udziału w programie i możliwości kontynuacji otrzymywania świadczeń zdrowotnych przez uczestników programu, jeżeli istnieją wskazania. Nie zawarto również informacji o sposobie monitorowania i ewaluacji programu. Ponadto, wnioskodawca używa zamiennie sformułowań „zamieszkały” i „zameldowany”, powodując tym samym niejasności w kryteriach włączenia uczestników do programu. Należy podkreślić, że badanie przesiewowe słuchu, jest finansowane ze środków publicznych w ramach świadczeń gwarantowanych z zakresu podstawowej opieki zdrowotnej. Program „NIE nowotworom u dzieci” będzie kierowany do wszystkich dzieci w wieku od 9 do 36 miesięcy z terenu gminy i miasta Odolanów, niezależnie od występowania objawów sugerujących chorobę nowotworową. Brakuje danych naukowych dotyczących pożytku z badań przesiewowych USG u dzieci w wykrywaniu choroby nowotworowej, której nie można traktować jako wspólnego hasła. Należy podkreślić, że świadczenia oferowane w ramach programu dostępne są w ramach podstawowej opieki zdrowotnej lub ambulatoryjnej opieki specjalistycznej.

Projekt programu zawiera informacje na temat kosztów całkowitych, jak i jednostkowych wykonywanych świadczeń, jednakże nie są znane interwencje, jakie wnioskodawca zamierza podejmować w ramach badania słuchu u dzieci, więc trudno stwierdzić czy środki zostaną wykorzystane w sposób efektywny.



Przedmiot opinii

Przedmiotem opinii jest projekt programu zdrowotnego miasta i gminy Odolanów „Zwiększenie dostępności do podstawowych badań przesiewowych u dzieci”, w którego skład wchodzi programy zdrowotne „NIE nowotworom u dzieci” oraz „Badanie przesiewowe słuchu”.

Celem programu jest zwiększenie dostępności świadczeń zdrowotnych dla dzieci w wieku od 9 do 36 miesięcy, mieszkających lub zameldowanych na terenie miasta i gminy. W przypadku programu „NIE nowotworom u dzieci” wnioskodawca zamierza przebadać 370 dzieci, natomiast w ramach programu „Badanie przesiewowe słuchu” – 140 dzieci.

W ramach programu „NIE nowotworom u dzieci” wykonywane będą badania USG szyi, jamy brzusznej, a u chłopców dodatkowo moszny. Nie określono interwencji, jakie podejmowane będą w ramach programu „Badanie przesiewowe słuchu”.

Na realizację programu „NIE nowotworom u dzieci” samorząd przeznaczył kwotę w wysokości 25 000 zł, na realizację programu „Badanie przesiewowe słuchu” – 10 000 zł. Programy mają być realizowane w 2012 r.

Problem zdrowotny

Nowotwory u dzieci

Nowotwory u dzieci występują bardzo rzadko, ale mimo ogromnego postępu, jaki dokonał się w leczeniu, są drugą przyczyną zgonów wśród dzieci poniżej 15 roku życia. Umiejscawiają się głównie w szpiku, układzie chłonnym, ośrodkowym układzie nerwowym, nerkach, układzie współczulnym, tkankach miękkich, kościach, gonadach, wątrobie i w siatkówce. Ich najistotniejszą cechą odróżniającą je od nowotworów dorosłych jest ich nienabłonkowe pochodzenie. Są to nowotwory mało zróżnicowane, w obrazie mikroskopowym większość z nich to nowotwory drobnookrągłokomórkowe. Cechują się dużą frakcją wzrostową i dynamiką wzrostu i nawet dobowa zwłoka może skutkować podwojeniem masy guza, a tym samym zagrozić życiu dziecka. Dla białaczek i niezłazniczych chłoniaków złośliwych podwojenie frakcji wzrostowej występuje w ciągu kilkunastu godzin, natomiast w przypadku guzów litych w ciągu około 3 tygodni, a w przypadku raków podwojenie frakcji wzrostowej następuje w ciągu około 3 miesięcy. W związku z dużą dynamiką nowotworów dziecięcych, w trakcie rozpoznania proces chorobowy jest już najczęściej bardzo zaawansowany, ale też duża dynamika wzrostu wiąże się ze znacznie wyższą wrażliwością na chemioterapię. Niezależnie od stadium nowotworu trwale można wyleczyć 75% dzieci, a im mniejsza jest masa nowotworu, tym skuteczniejsze jest leczenie, a wczesne działania niepożądane i odległe następstwa mniejsze.

Badanie przesiewowe słuchu

Głuchota w ścisłym znaczeniu tego słowa oznacza całkowity brak słuchu lub nikłe resztki słuchu, które nie nadają się do odbierania mowy nawet przy zastosowaniu aparatu słuchowego. Natomiast niedosłuch jest to ograniczenie funkcji słuchowej, powodujące różne niedogodności, zwłaszcza przy odbieraniu i rozumieniu mowy. W głębszym niedosłuchu możliwe jest odbieranie mowy jedynie z bliska – słowa wymawiane szeptem nie są słyszane. W niektórych formach głębokiego niedosłuchu może być niezbędne do rozumienia mowy zastosowanie aparatu wzmacniającego, a także pomoc narządu wzroku (patrzenie na ruch ust, zwane również odczytywaniem mowy z ust).

Na funkcję słyszenia składają się trzy współdziałające ze sobą procesy:

1. Proces przenoszenia drgań akustycznych, odbywający się głównie w uchu zewnętrznym i środkowym;
2. Proces przetwarzania drgań akustycznych na mikroimpulsy elektryczne (w ślimaku) i przewodzenie tych impulsów włóknami nerwu słuchowego do ośrodkowego układu nerwowego i do kory płata skroniowego;
3. Procesy odbywające się w ośrodkowym układzie nerwowym, a zwłaszcza w korze mózgu, których efektem jest świadomy odbiór dźwięków, ich kojarzenie i zapamiętywanie.

Chcąc ocenić stan słuchu u dziecka pod kątem jego perspektyw rozwojowych, brane są pod uwagę głównie pierwsze dwa z ww. procesów. Upośledzenie procesu przenoszenia drgań akustycznych

pociąga za sobą niedosłuch tzw. przewodzeniowy, który nigdy nie powoduje głuchoty, a jedynie niedosłuch o mniejszym lub większym stopniu. Natomiast zaburzenia czynności ślimaka i nerwu słuchowego pociągają za sobą głuchotę lub różnego stopnia niedosłuch typu odbiorczego.

Alternatywne świadczenia

Nowotwory u dzieci

Zgodnie z Załącznikiem nr 2 do Zarządzenia Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia Nr 85/201/DSOZ z dnia 17 listopada 2011 r. w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów o udzielanie świadczeń w rodzaju: podstawowa opieka zdrowotna lekarz POZ może zlecić wykonanie badania USG jamy brzusznej.

Zgodnie z Załącznikiem nr 7 do Zarządzenia Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia Nr 81/2011/DSOZ z dnia 4 listopada 2011 r. w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju ambulatoryjna opieka specjalistyczna wykonywanymi badaniami dodatkowymi są m.in. USG tarczycy i przytarczyc, USG brzucha i przestrzeni zaotrzewnowej, USG węzłów chłonnych położonych powierzchownie, USG jąder i najądrzy i USG gruczołu krokowego.

„Narodowy program zwalczania chorób nowotworowych” jest programem realizowanym w latach 2006-2015. Do zadań wykonywanych w ramach programu w odniesieniu do zachorowań na nowotwory złośliwe wśród dzieci należy m.in. zakup aparatury diagnostycznej dla wczesnego wykrywania nowotworów oraz poprawa jakości diagnostyki i leczenia nowotworów u dzieci. Wspólną zasadą realizacji programów są działania na rzecz poprawy wyników leczenia dzieci z wykrytymi nowotworami, zmniejszenie toksyczności i późnych następstw leczenia, zredukowanie kosztów leczenia dzięki właściwej stratyfikacji, zmniejszenie liczby błędów diagnostycznych, zwiększenie precyzji klasyfikacji poszczególnych pacjentów do grup ryzyka. Jest to możliwe dzięki prowadzonej weryfikacji badań diagnostycznych, prowadzenie sesji uzgodnieniowych, dotyczących interpretacji wyników i stratyfikacji leczenia, prowadzenie baz danych o wszystkich młodych pacjentach, leczonych z powodu nowotworów układu krwiotwórczego, nowotworów OUN, guzów litych, chłoniaków.

Badanie przesiewowe słuchu

Rozporządzenie Ministra Zdrowia 29 sierpnia 2009 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu podstawowej opieki zdrowotnej (Dz. U. Nr 139, poz. 1139, z późn. zm.) określa warunki realizacji porad oraz badań bilansowych, w tym badań przesiewowych. Pierwsze badania słuchu u dzieci przeprowadzane są u noworodków między 2 a 6 miesiącem życia i mają na celu ocenę rozwoju reakcji słuchowych. Kolejne takie badanie jest przeprowadzone w 9 oraz 12 miesiącu życia dziecka. Dzieci w wieku 2 lat są oceniane pod kątem obecności czynników ryzyka uszkodzenia słuchu. Bilanse zdrowia 4-latka oraz 6/7-latka (klasa „0”) oceniają rozwój reakcji słuchowych oraz rozwój mowy. W bilansie 13-latka wykonywane jest badanie orientacyjne szeptem, mające na celu wykrywanie zaburzeń słuchu. Proponowane przez wnioskodawcę przesiewowe badanie słuchu dubluje się więc z obowiązkową oceną słuchu finansowaną ze środków publicznych, przeprowadzaną co najmniej siedem razy, począwszy od okresu noworodkowego i niemowlęcego, aż do ukończenia 13 roku życia.

Wnioski z oceny przeprowadzonej przez Agencję

Wnioski z oceny problemu zdrowotnego

Kluczowe wnioski wynikające z wytycznych:

- Szybki dostęp do odpowiedniej diagnostyki obrazowej (włączając w to medycyną nuklearną) jest znaczący w przypadku dzieci lub młodzieży z podejrzeniem lub z potwierdzonym procesem nowotworowym. Obrazowanie u młodszych dzieci lub u noworodków nastrocza pewnych trudności, dlatego te procedury powinny być wykonywane w centrach z odpowiednim doświadczeniem.
- W klasycznej ultrasonografii narażenie pacjentów na promieniowanie ultradźwiękowe jest niewielkie i nie przekracza wielkości natężeń akceptowanych przez Międzynarodowy Komitet Skutków Biologicznych przy Amerykańskim Instytucie Ultradźwięków w Medycynie. Natomiast ekspozycja na ultradźwięki związane ze stosowaniem dopplerowskich metod badania przepływów może przekraczać wartości dopuszczalnych natężeń, w związku z tym

lekarz prowadzący badania powinien dobierać tak parametry techniczne ekspozycji, aby uwzględnić zasadę najmniejszego ryzyka.

- U każdego dziecka z podejrzanym lub ze stwierdzonym guzem jamy brzusznej proces diagnostyczny powinien się rozpocząć od badań najmniej inwazyjnych. Wykrycie nieprawidłowej masy nakazuje dalsze prowadzenie badań z uwzględnieniem wieku dziecka, objawów klinicznych i umiejscowienia guza. Najmniej inwazyjnymi badaniami są zdjęcie przeglądowe jamy brzusznej i USG jamy brzusznej i od nich powinno się rozpocząć postępowanie diagnostyczne.
- W przypadku podejrzenia guza Wilmsa, USG jamy brzusznej i nerek jest najczęściej zalecanym badaniem diagnostycznym, które należy wykonać w pierwszej kolejności. Badanie USG umożliwia zróżnicowanie guza litego od torbieli, ocenę przestrzeni zaotrzewnowej, wyklucza lub potwierdza obecność powiększonych węzłów chłonnych i czopa nowotworowego w żyłę główną dolną.
- Do objawów wymagających pilnej diagnostyki należy zaliczyć:
 - nieprawidłową liczbę krwinek,
 - wybroczyny,
 - zmęczenie u wcześniej zdrowych dzieci, zwłaszcza jeśli jest związane z ogólnym powiększeniem węzłów chłonnych lub hepatosplenomegalią,
 - ból kostny zwłaszcza jeśli jest rozproszony lub obejmuje plecy, jest trwale zlokalizowany w jednym miejscu, wymaga znieczulenia, ogranicza aktywność,
 - powiększenie węzłów chłonnych zwłaszcza jeśli brakuje dowodów infekcji,
 - ból głowy zwłaszcza jeśli narasta jego siła lub częstość, wiąże się z porannym złym samopoczuciem, wymiotami, zaburzeniami neurologicznymi (zez, ataksja), zmianami zachowania lub pogorszeniem wyników szkolnych.
- USG jamy brzusznej wykonuje się m.in. w diagnostyce guzów jąder, nerwiaków zarodkowych, przewlekłej białaczki nieлимfoblastycznej, przewlekłej białaczki szpikowej i nowotworów tkanek miękkich, nowotworów wątroby, nerwiaka niedojrzałego, zwojaka zarodkowego współczulnego, nieziarniczych chłoniaków złośliwych.
- W większości państw Europy ugruntowaną pozycję mają programy wykrywania wad słuchu u noworodków. Należy jednak zwrócić uwagę, że nie wszystkie zaburzenia słuchu są możliwe do wykrycia w momencie narodzin dziecka. Badania przesiewowe słuchu u noworodków pozwalają na wykrycie trwałych uszkodzeń słuchu, z czego większość stanowi niedosłuch typu odbiorczego w porównaniu do rzadko wykrywanego niedosłuch typu przewodzeniowego.
- Przesiewowe badania słuchu powinny być integralną częścią szkolnych programów zdrowotnych.
- Europejska Federacja Towarzystw Audiologicznych, jako podstawową populację docelową do wykonywania badań przesiewowych w wieku szkolnym i przedszkolnym, wskazuje dzieci w wieku od 4 do 7 lat. American Speech-Language-Hearing Association rekomenduje wykonywanie badań przesiewowych dzieciom rozpoczynającym naukę w szkole, dzieciom od przedszkola do 3 klasy, oraz dzieciom w klasach 7 i 11. American Academy of Pediatrics wskazało, jako grupę, w której rekomendowane jest przeprowadzanie badań przesiewowych, dzieci w wieku 4, 5, 6, 8 i 10 lat.
- Nieprawidłowości rozwojowe, problemy behawioralne (np. autyzm, opóźnienia w rozwoju) mogą uniemożliwić otrzymanie dokładnych wyników w audiometrycznym badaniu przesiewowym. W tej sytuacji konieczne jest skierowanie dziecka do otolaryngologa lub audiologa dziecięcego, którzy posiadają odpowiednie kompetencje oraz aparaturę umożliwiającą właściwe przeprowadzenie badania.

Wnioski z oceny programu gminy Odolanów

- Program „Zwiększenie dostępności do podstawowych badań przesiewowych u dzieci”, w którego skład wchodzi programy zdrowotne „NIE nowotworom u dzieci” oraz „Badanie przesiewowe słuchu”, nie jest zgodny ze schematem programu zdrowotnego zaproponowanym przez AOTM, brakuje w nim wielu istotnych informacji dotyczących realizacji programu, w tym szczegółowego opisu sposobu organizacji programu: części składowych, etapów organizacyjnych, zasad udzielania świadczeń w ramach programu, sposobu zakończenia udziału w programie i możliwości kontynuacji otrzymywania świadczeń zdrowotnych przez uczestników programu, jeżeli istnieją wskazania. W projekcie nie zawarto informacji o sposobie monitorowania i ewaluacji programu.
- Realizacja programu zdrowotnego gminy Odolanów „Zwiększenie dostępności do podstawowych badań przesiewowych u dzieci” ma na celu wczesne wykrywanie zmian nowotworowych u dzieci oraz badanie przesiewowe słuchu u dzieci.
- Program „NIE nowotworom u dzieci” będzie kierowany do wszystkich dzieci w wieku od 9 do 36 miesięcy z terenu gminy i miasta Odolanów, niezależnie od występowania objawów sugerujących chorobę nowotworową.
- Program zdrowotny zostanie zorganizowany we współpracy z Fundacją Ronalda McDonalda, która od 2005 r. prowadzi Ogólnopolski Program Profilaktycznych Badań Ultrasonograficznych Dzieci. Badania zostaną przeprowadzone w specjalistycznym ambulsie medycznym, wyposażonym w dwa gabinety lekarskie, służące do ultrasonograficznych badań przesiewowych.
- Program „Badanie przesiewowe słuchu” jest adresowany do dzieci w wieku 3 lat, niezależnie od występowania objawów głuchoty lub niedosłuchu. Program nie określa jakiego typu badania zostaną przeprowadzone w ramach przesiewu słuchu u dzieci, tym samym stwierdzenie czy planowane środki finansowe zostaną wykorzystane w sposób efektywny jest niemożliwe.
- Wnioskodawca używa zamiennie sformułowań „zamieszkały” i „zameldowany”, powodując tym samym niejasności w kryteriach włączenia uczestników do programu.
- Świadczenia oferowane w ramach programu „Zwiększenie dostępności do podstawowych badań przesiewowych u dzieci” dostępne są w ramach podstawowej opieki zdrowotnej lub ambulatoryjnej opieki specjalistycznej. Dublowanie świadczeń finansowanych ze środków publicznych może zostać uznane za nieefektywne wykorzystanie środków finansowych.

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

.....


Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48 ust. 2a ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, z uwzględnieniem raportu o programie: „Zwiększenie dostępności do podstawowych badań przesiewowych u dzieci” realizowanym przez gminę Odolanów, nr: AOTM-OT-441-124/2012, Warszawa kwiecień 2013 i aneksów: „Programy w zakresie wczesnej diagnostyki obrazowej nowotworów u dzieci – wspólne podstawy oceny”, Aneks do raportów szczegółowych, Warszawa, lipiec 2012 oraz „Badania przesiewowe słuchu u dzieci w wieku szkolnym wspólne podstawy oceny”, Aneks do raportów szczegółowych, Warszawa, listopad 2012



Opinia Rady Przejrzystości

nr 88/2013 z dnia 8 kwietnia 2013

o projekcie programu „Zwiększenie bezpieczeństwa zdrowotnego kobiety w wieku od 25 do 59 roku życia na terenie miasta i gminy Kąty Wrocławskie”

Rada Przejrzystości wydaje negatywną opinię o projekcie programu „Zwiększenie bezpieczeństwa zdrowotnego kobiety w wieku od 25 do 59 roku życia na terenie miasta i gminy Kąty Wrocławskie”.

Uzasadnienie

Proponowane przez wnioskodawcę świadczenia w zakresie profilaktyki nowotworów szyjki macicy są realizowane w Polsce w ramach Populacyjnego Programu Profilaktyki Raka Szyjki Macicy, który obejmuje kobiety w wieku 25–59 lat. Populacyjny Program realizowany jest w oparciu o ustawę z dnia 1 lipca 2005 r. o ustanowieniu programu wieloletniego "Narodowy program zwalczania chorób nowotworowych. Do programu kwalifikowane są kobiety, które w ciągu 3 ostatnich lat nie miały wykonanego wymazu cytologicznego w ramach ubezpieczenia w NFZ. Bezpłatne badania cytologiczne świadczą zakłady opieki zdrowotnej w całej Polsce, które podpisały z NFZ umowę na realizację Programu.

Począwszy od marca 2007 r. NFZ rozpoczął wysyłkę imiennych zaproszeń na badania cytologiczne. Kobiety znajdujące się w grupie objętej programem profilaktyki mogą również zgłosić się na badanie same, bez skierowania. Program jest realizowany już 8 rok.

Brakuje danych naukowych dotyczących pożytku z badań przesiewowych USG w wykrywaniu raka jajnika u osób bezobjawowych.

Przedmiot opinii

Przedmiotem opinii jest projekt programu zdrowotnego miasta i gminy Kąty Wrocławskie „Zwiększenie bezpieczeństwa zdrowotnego kobiety w wieku od 25 do 59 roku życia na terenie miasta i gminy Kąty Wrocławskie”, mający na celu zwiększenie dostępności świadczeń zdrowotnych dla kobiet w wieku 25–59 lat, które wedle wnioskodawcy miałyby zwiększyć wczesne wykrywanie raka jajnika oraz szyjki macicy.

Program skierowany jest do kobiet w wieku od 25 do 59 roku życia, mieszkanek miasta i gminy Kąty Wrocławskie zameldowanych na pobyt stały lub czasowy. Wnioskodawca określił liczbę osób, które mogą zostać włączone do realizacji programu, na 10 252.



Program „Zwiększenie bezpieczeństwa zdrowotnego kobiety w wieku od 25 do 59 roku życia na terenie miasta i gminy Kąty Wrocławskie” przewiduje możliwość skorzystania przez uczestniczki z bezpłatnych badań ginekologicznych, m.in. cytologii oraz badania USG głowicą waginalną lub przezbrzuszną.

Na realizację programu samorząd przeznaczył kwotę w wysokości 70 000 zł. Program ma być realizowany w latach 2012–2015, jednakże z opisu jego projektu wynika, iż badania prowadzone będą jedynie w 2012 r.

Problem zdrowotny

W etiologii raka szyjki macicy najważniejszą rolę odgrywa zakażenie wirusem brodawczaka ludzkiego (HPV). Obok zakażenia HPV, do czynników ryzyka zachorowania na raka szyjki macicy należą m. in. wczesne rozpoczęcie życia płciowego (przed 18 rokiem życia), duża liczba partnerów seksualnych, partnerzy „wysokiego ryzyka”, zakażenie HIV lub inne upośledzające system immunologiczny, palenie tytoniu, niski status ekonomiczny oraz liczne ciążę i porody.

Działania mające na celu przeciwdziałania nowotworom szyjki macicy mogą dotyczyć:

- profilaktyki wczesnej – utrwalania prawidłowych wzorców zdrowego stylu życia,
- profilaktyki pierwotnej (I fazy) – zapobiegania chorobom poprzez kontrolowanie czynników ryzyka,
- profilaktyki wtórnej (II fazy) – zapobiegania konsekwencjom choroby poprzez jej wczesne wykrycie i leczenie (przesiewowe badanie skriningowe),
- profilaktyka III fazy – obniżaniu umieralności z powodu nowotworów złośliwych poprzez skuteczne leczenie.

Działania te mogą obejmować edukację, szczepienia przeciw HPV (profilaktyka pierwotna), badania cytologiczne szyjki macicy (profilaktyka wtórna), czy leczenie (profilaktyka III fazy).

Rak jajnika to schorzenie, polegające na obecności komórek nowotworowych w jednym lub obu jajnikach. Nieumiarkowane i nieprawidłowe rozmnażanie się tych komórek prowadzi do powstania guza nowotworowego, którego dalszy rozwój może zagrażać innym tkankom i doprowadzać do przerzutów. Sklasyfikowano ponad 30 różnych rodzajów guzów jajnika, które są skategoryzowane ze względu na rodzaj komórek. Część z nich jest łagodna i nie prowadzi do przerzutów poza tkankę jajników. Złośliwe guzy mają zdolność przerzutowania.

Obecnie nie ma skutecznej metody wczesnego wykrywania raka jajnika, diagnozuje się go zazwyczaj w stadium zaawansowanym. Z tego powodu jedynie połowa kobiet przeżywa okres dłuższy niż 5 lat po diagnozie. W przypadku 25% kobiet ze zdiagnozowanym nowotworem we wczesnym stadium choroby, wskaźnik 5-letniego okresu przeżycia jest większy niż 90%. Objawy raka jajnika są zazwyczaj nieswoiste, często występujące w innych stanach chorobowych oraz nieokreślone, przez co choroba jest trudna do zdiagnozowania.

Alternatywne świadczenia

W Polsce realizowany jest Populacyjny Program Profilaktyki Raka Szyjki Macicy, oparty na skriningu cytologicznym, w oparciu o ustawę o ustanowieniu programu wieloletniego "Narodowy program zwalczania chorób nowotworowych" oraz o Uchwałę Nr 24/2011 Rady Ministrów w sprawie harmonogramu zadań wykonywanych w ramach programu wieloletniego "Narodowy program zwalczania chorób nowotworowych" w roku 2011 oraz kierunków realizacji zadań tego programu na lata 2012 i 2013.

Programem profilaktyki objęte zostały Polki między 25 a 59 rokiem życia, które w ciągu 3 ostatnich lat nie miały wykonanego wymazu cytologicznego w ramach ubezpieczenia w NFZ. Bezpłatne badania cytologiczne świadczą zakłady opieki zdrowotnej w całej Polsce, które podpisały z NFZ umowę na realizację Programu. Począwszy od marca 2007 r. NFZ rozpoczął wysyłkę imiennych zaproszeń na badania cytologiczne. Kobiety znajdujące się w grupie objętej programem profilaktyki mogą również zgłosić się na badanie same, bez skierowania.

W zakresie wykrywania raka jajnika, w ustawie o ustanowieniu programu wieloletniego "Narodowy program zwalczania chorób nowotworowych" zawarto „Program opieki nad rodzinami wysokiego, dziedzicznie uwarunkowanego ryzyka zachorowania na nowotwory złośliwe”, w tym: Moduł 1 - Wczesne wykrywanie nowotworów złośliwych w rodzinach wysokiego, dziedzicznie uwarunkowanego ryzyka zachorowania na raka piersi i raka jajnika. Celem Programu jest prewencja oraz znaczne zwiększenie odsetka wczesnych rozpoznań – i dzięki temu wyleczeń nowotworów piersi i jajnika – w powyższej populacji.

Wnioski z oceny przeprowadzonej przez Agencję

Wnioski z oceny problemu zdrowotnego

- Do ważnych czynników redukujących umieralność z powodu nowotworów złośliwych raka szyjki macicy należy ich wczesne wykrywanie, zarówno podczas indywidualnych badań cytologicznych, jak również w masowych programach profilaktycznych (np. skriningach).
- Rak szyjki macicy jest jednym z nielicznych nowotworów, w przypadku którego uzasadnione jest prowadzenie badań przesiewowych, w szczególności w postaci badania cytologicznego.
- W związku z dużym czynnikiem ryzyka występowania raka szyjki macicy jest zakażenie wirusem HPV, zalecane jest prowadzenie rutynowych szczepień przeciwko HPV dziewcząt, które nie miały jeszcze kontaktu z wirusem – istnieją niewielkie różnice w zakresie rekomendowanych przedziałów wiekowych, co związane jest m. in. z różnicami pod względem wieku inicjacji seksualnej w poszczególnych krajach; Polskie Towarzystwo Ginekologiczne zaleca szczepienia w wieku 11–12 lat, a Polskie Towarzystwo Profilaktyki Zakażeń HPV w wieku 12–15 lat.
- Szczepienie przeciwko HPV nie jest alternatywą dla skriningu cytologicznego i nie uzasadnia zmniejszenia nakładów na programy skriningowe – szczepienia przeciwko HPV zawsze powinny być elementem szerszej, skoordynowanej strategii populacyjnej, koniecznej obejmującej również skrining cytologiczny i społeczne kampanie edukacyjne.
- Udowodniono, że dobrze zorganizowane populacyjne programy wczesnego wykrywania raka szyjki macicy, w postaci przesiewowych badań cytologicznych, które cechują się dużym stopniem pokrycia populacji docelowej i zawierają także następujący po nim program leczenia kobiet z nieprawidłowymi wynikami cytologii, redukują zachorowalność na raka szyjki macicy o około 80%.
- Rak jajnika jest stosunkowo rzadkim nowotworem, problem dotyczy wyłącznie ograniczonej grupy kobiet i nie wydaje się być społecznie istotny. Problem może dotyczyć ok. 400–500 kobiet w skali całego kraju, a brak jest dowodów naukowych na skuteczność badania przesiewowego w raku jajnika.
- Informacje zawarte w rekomendacji NICE z 2011 r. wskazują, że około 0,23% kobiet zgłaszających się do lekarza pierwszego kontaktu z objawami mogącymi wskazywać na raka jajnika w rzeczywistości na niego cierpią. Jeżeli wszystkie te kobiety zostałyby przyjęte przez lekarza specjalistę, jedynie 1 na każde 500 kobiet zostałaby zdiagnozowana z rakiem jajnika.
- Z powodu małego rozpowszechnienia raka jajnika w populacji oraz inwazyjności testów diagnostycznych przeprowadzanych w wyniku uzyskania pozytywnego wyniku badania przesiewowego istnieją dowody na potencjalne poważne zagrożenia wynikające z badań przesiewowych. Jednakże, kobiety z grup wysokiego ryzyka mogą czerpać większe korzyści z przeprowadzania badań przesiewowych.
- Wedle wytycznych American Cancer Society, przezpochwowe badania USG oraz badania poziomu CA-125 w surowicy krwi nie są rekomendowane jako badania przesiewowe w kierunku raka jajnika w grupie kobiet bez czynników zwiększonego ryzyka zachorowania.
- Kobiety z rodzinnym obciążeniem wskazująca na wysokie ryzyko zachorowania na raka jajnika, powinny otrzymać skierowanie do poradni genetyki klinicznej w celu oceny

i potwierdzenia ich historii choroby w rodzinie. Następnie mogą one zostać zakwalifikowane do otrzymania skierowania na badanie przesiewowe w ramach badania klinicznego.

- Nie odnaleziono danych potwierdzających skuteczność testów skriningowych w kierunku wykrywania raka jajnika, polegających na wykonaniu testu na CA-125, USG lub badania obszaru miednicy, w redukcji umieralności z powodu raka jajnika.

Wnioski z oceny programu miasta i gminy Kąty Wrocławskie

- W projekcie programu zostały zaplanowane świadczenia zdrowotne mające na celu wykrywanie raka szyjki macicy oraz raka jajników, poprzez wykonywanie m.in. bezpłatnych badań ginekologicznych, badania cytologicznego i USG waginalnego lub przezbrzusznego. Jednakże nie wszystkie zaproponowane przez wnioskodawcę interwencje są uznawane za skuteczne w przypadku powyższych problemów zdrowotnych.
- Program skierowany jest do populacji kobiet w przedziale wiekowym 25–59 lat, czyli do tej samej grupy, która jest już objęta cytologicznym badaniem przesiewowym w kierunku wykrywania raka szyjki macicy, finansowanym ze środków publicznych.
- Na realizację zadania została zabezpieczona kwota w wysokości 70.000 zł. Projekt programu nie zawiera informacji na temat szczegółowych kosztów planowanych interwencji, jednakże wnioskodawca poinformował, iż widzi konieczność objęcia programem ok. 10.252 kobiety. Przy założeniu 100% zgłaszalności do programu, koszt przebadania 1 osoby wyniosłby 6,82 zł. Powyższa suma może okazać się dalece niewystarczająca na pokrycie kosztów wszystkich zaplanowanych działań.
- Wnioskodawca nie sprecyzował czy adresatami programu mają być osoby z podejrzeniem występowania nowotworów narządów rodnych lub piersi czy populacja bezobjawowa, jednakże – wnioskując z informacji na temat zasad włączenia do programu, tj. wieku i zameldowania na terenie gminy – można uznać, iż program skierowany jest do populacji ogólnej, co jest rekomendowane jedynie w cytologicznym badaniu przesiewowym w kierunku raka szyjki macicy.
- Nie ma zgody ekspertów co do skuteczności badań przesiewowych w kierunku wykrywania raka jajnika. Jednakże istnieją negatywne rekomendacje do wykonywania USG u osób bezobjawowych oraz niebędących w grupie podwyższonego ryzyka występowania nowotworów jajnika oraz piersi, tj. obciążonych genetycznie powyższym problemem.
- USG przezpochwowe znajduje się w wykazie świadczeń gwarantowanych z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej, więc proponowana przez wnioskodawcę interwencja nie może zostać uznana ani za jednoznacznie skuteczne działanie kliniczne ani za działanie efektywne kosztowo.
- Program ma być realizowany w latach 2012–2015, jednakże z opisu jego projektu wynika, iż badania prowadzone będą jedynie w 2012 r. Niejasnym więc pozostaje jak będzie wyglądała realizacja programu w kolejnych latach jego obowiązywania.
- Cel szczegółowy, jakim jest poprawa stanu zdrowia kobiet, nie jest możliwy do osiągnięcia w tak krótkim horyzoncie czasowym. Powszechna dostępność do badań cytologicznych i regularne zgłaszanie się kobiet na takie badania dają szansę na zmianę wskaźników dotyczących umieralności polskich kobiet z powodu raka szyjki macicy. Jednakże, aby móc mówić o spadku śmiertelności, skrining powinien być prowadzony przynajmniej 10 lat.
- Pozytywną stroną programu są działania edukacyjne w zakresie prewencji nowotworów oraz higieny osobistej. Wykrycie choroby we wczesnym stadium zwiększa szanse na skuteczne leczenie i przeżycie. Objawy raka jajnika są często nieswoiste, co może prowadzić do opóźnienia diagnozy. Do czasu opracowania skutecznej metody badań przesiewowych w kierunku raka jajnika, edukacja kobiet powinna być priorytetem, ponieważ wiedza na temat objawów choroby i czynników ryzyka raka jajnika nadal jest niewystarczająca.

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

.....


Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48 ust. 2a ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, z uwzględnieniem raportu o programie: „Zwiększenie bezpieczeństwa zdrowotnego kobiety w wieku od 25 do 59 roku życia na terenie miasta i gminy Kąty Wrocławskie” realizowanym przez miasto i gminę Kąty Wrocławskie, nr: AOTM-OT-441-155/2012, Warszawa marzec 2013 i aneksów: „Wykrywanie raka jajnika w populacji kobiet z grupy zwiększonego ryzyka rodzinnego lub genetycznego – wspólne podstawy oceny”, Aneks do raportów szczegółowych, Warszawa, lipiec 2012 oraz „Programy przeciwdziałania zakażeniom wirusem brodawczaka ludzkiego (HPV) oraz rakowi szyjki macicy – wspólne podstawy oceny”, Aneks do raportów szczegółowych, Warszawa, lipiec 2012



Opinia Rady Przejrzystości
nr 89/2013 z dnia 8 kwietnia 2013
o projekcie programu „Dbamy o zdrowie naszych seniorów” gminy
Legionowo

Rada Przejrzystości wydaje negatywną opinię o projekcie programu „Dbamy o zdrowie naszych seniorów” gminy Legionowo.

Uzasadnienie

Program jest dobrze zaprojektowany i odnosi się do ważnego i dobrze zdefiniowanego w literaturze problemu zdrowotnego – poprawy opieki nad osobami starszymi. Jest adresowany do dość dobrze określonej grupy docelowej, chociaż kryteria włączenia do programu nie zostały jasno opisane. Jednakże, ze względu na ograniczoną ilość miejsc w programie oraz możliwość uczestniczenia w nim zależną od szybkości dokonania zgłoszenia, pozostaje do rozstrzygnięcia kwestia równego dostępu do świadczeń. Należy zauważyć, że koszt programu został oszacowany na 20.000 zł, jednakże nie podano informacji na temat kosztów jednostkowych świadczeń. Budżet jest zbyt niski, aby chociaż w minimalnym stopniu mogli skorzystać z niego mieszkańcy Gminy Legionowo. Na terenie miasta Legionowo zamieszkuje osób w wieku powyżej 60 r. z ponad 10 tysięcy czyli zapisane w programie interwencje będą praktycznie niedostępne, a skorzystać z ich będzie mogła tylko minimalna ilość osób (jak wynika z danych statystycznych za rok 2012 do programu realizowanego w poprzednich latach skorzystało około 130 osób).

Równocześnie należy zauważyć, że wszystkie proponowane przez wnioskodawcę świadczenia w zakresie profilaktyki chorób sercowo-naczyniowych oraz rehabilitacji ruchowej są świadczeniami gwarantowanymi, na podstawie rozporządzeń Ministra Zdrowia.

Badanie EKG i echo nie mają w tej populacji znaczenia przesiewowego, najbardziej korzystne dla populacji senioralnej byłyby badania przesiewowe słuchu i wzroku.

Przedmiot opinii

Przedmiotem opinii jest projekt programu zdrowotnego gminy Legionowo „Dbamy o zdrowie naszych seniorów”, mający na celu zmniejszenie przedwczesnej umieralności na choroby sercowo-naczyniowe, poprawę sprawności fizycznej i psychicznej adresatów oraz zmniejszenie różnic w dostępie do specjalistycznych świadczeń opieki zdrowotnej.



Program kierowany jest do osób w wieku senioralnym z terenu miasta Legionowo, zrzeszonych w organizacjach pozarządowych. Wnioskodawca nie określił liczby osób, które mogą zostać włączone do realizacji programu.

Program „Dbamy o zdrowie naszych seniorów” przewiduje możliwość skorzystania z bezpłatnych konsultacji kardiologicznych wraz z diagnostyką oraz konsultacji rehabilitanta wraz z pięciokrotną rehabilitacją.

Szacunkowa wysokość środków finansowych gminy Legionowo zarezerwowanych na realizację programu wynosi 20 000 zł. Program realizowany będzie w okresie od marca do grudnia 2013 r.

Problem zdrowotny

Konsekwencją wyraźnego procesu starzenia się społeczeństwa polskiego, widocznego już od wielu lat, jest duża liczebność (5,7 mln) grupy osób w wieku poprodukcyjnym (≥ 65 lat). Jednocześnie wydłuża się średnia długość życia mężczyzn i kobiet. Wydaje się więc, że najważniejszym zadaniem polityki społecznej powinna być nie tylko troska o dalsze wydłużanie życia, ale również podejmowanie takich działań, które będą sprzyjać pomyślnemu starzeniu się.

Pomyślne starzenie definiuje się jako osiągnięcie wieku starości z małym ryzykiem chorób i niedożywienia, z wysoką sprawnością umysłową i fizyczną oraz utrzymaną aktywnością życiową. Dodatkowo należy zwrócić uwagę na zachowanie aktywności w sferze kontaktów społecznych i towarzyskich. W procesie starzenia się istotne znaczenie ma sfera oddziaływań zewnętrznych, do których zalicza się styl życia, sposób odżywiania, środowisko życia i czynniki psychospołeczne.

Aktywny styl życia to jeden z czynników istotnie wpływających na zdrowie osób starszych. Wiadomo, że niedobór ruchu może prowadzić do przyspieszenia procesów starzenia się oraz niedożywienia, a nawet w niektórych przypadkach do niepełnosprawności fizycznej. Regularne ćwiczenia fizyczne są nie tylko potencjalnym czynnikiem zapobiegającym starzeniu się, ale także pozytywnie wpływają na sprawność umysłową osób w podeszłym wieku.

Alternatywne świadczenia

Koszyk świadczeń gwarantowanych w zakresie profilaktyki chorób sercowo-naczyniowych:

- rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 27 maja 2011 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej (Dz. U. Nr 111, poz. 653, z późn. zm.) do świadczeń gwarantowanych zalicza m.in. badania wysiłkowe serca, echokardiografię oraz badania poziomu cholesterolu we krwi.

Koszyk świadczeń gwarantowanych w zakresie rehabilitacji ruchowej:

- rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 30 sierpnia 2009 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu rehabilitacji leczniczej (Dz. U. Nr 140, poz. 1145, z późn. zm.), w ramach świadczeń gwarantowanych przewiduje m.in. opiekę rehabilitacyjną i fizjoterapię;
- rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 30 sierpnia 2009 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu świadczeń pielęgnacyjnych i opiekuńczych w ramach opieki długoterminowej (Dz. U. Nr 140, poz. 1147, z późn. zm.), opisuje świadczenia udzielane są zarówno w warunkach stacjonarnych, jak i domowych, których celem jest m.in. rehabilitacja ogólna w podstawowym zakresie, prowadzona w celu zmniejszenia skutków upośledzenia ruchowego oraz usprawnienia ruchowego.

Wnioski z oceny przeprowadzonej przez Agencję

Wnioski z oceny problemu zdrowotnego

Kluczowe wnioski wynikające z wytycznych:

- Do czynników ryzyka sercowo-naczyniowego podlegających modyfikacji należą: nieprawidłowe żywienie, palenie tytoniu, mała aktywność fizyczna, podwyższone ciśnienie tętnicze, zaburzenia gospodarki lipidowej (podwyższone stężenie w osoczu cholesterolu LDL, triglicerydów i niskie stężenie HDL-cholesterolu), upośledzona tolerancja glukozy lub cukrzyca, nadwaga otyłość.

- Wśród odnalezionych wytycznych nie ma zgodność w kwestii zastosowania badania EKG w spoczynku, jako badania przesiewowego w kierunku choroby wieńcowej wśród bezobjawowych osób. Według niektórych wytycznych (np. AHA 2010) przeprowadzenie badania EKG w spoczynku jest uzasadnione przy ocenie ryzyka sercowo-naczyniowego w przypadku bezobjawowych dorosłych z nadciśnieniem lub cukrzycą, może być rozważone również w przypadku bezobjawowych dorosłych bez nadciśnienia czy cukrzycy.
- USPSTF stwierdziła, że dostępne dowody są niewystarczające do ustalenia zaleceń dotyczących rutynowego skriningu za pomocą EKG czy ETT na obecność zwapnienia naczyń wieńcowych, zarówno w kierunku obecności znacznego zwężenia tętnic wieńcowych jak również w celu predykcji incydentów choroby wieńcowej u osób z podwyższonym ryzykiem zdarzeń wieńcowych.
- Ze względu na ograniczoną czułość EKG w spoczynku oraz ze względu na niską częstość występowania choroby wieńcowej w populacji bezobjawowych dorosłych, większość zdarzeń wieńcowych wystąpi wśród tych ze wstępnie normalnym wynikiem EKG (np. tych z wynikiem fałszywi ujemnym).
- Silne dowody wskazują, że w porównaniu do mniej aktywnych kobiet i mężczyzn, starsze osoby które wykazują większą aktywność fizyczną posiadają:
 - niższą zachorowalność na chorobę wieńcową, nadciśnienie, udar, cukrzycę, raka piersi oraz okrężnicy oraz wyższy poziom sprawności krążeniowo-oddechowej i mięśniowej
 - korzystniejszą masę ciała, odpowiedni skład kości
 - wyższe poziomy funkcjonalne zdrowia, mniejsze ryzyko upadku i lepsze zdolności percepcyjne.
- Osoby starsze powinny wykonywać co najmniej 150 minut ćwiczeń aerobowych o umiarkowanej intensywności w ciągu tygodnia lub przynajmniej 75 minut intensywnych ćwiczeń aerobowych w ciągu tygodnia lub w równoważnej ilości połączenie ćwiczeń o umiarkowanej intensywności oraz intensywnych.
- Ćwiczenia aerobowe powinny być wykonywane w seriach co najmniej 10-cio minutowych.
- Aby uzyskać dodatkowe korzyści dla zdrowia, osoby starsze powinny zwiększyć ilość ćwiczeń aerobowych o umiarkowanej intensywności do 300 minut tygodniowo lub angażować się w 150 minut intensywnych ćwiczeń aerobowych w tygodniu lub połączyć równoważne ilości ćwiczeń o umiarkowanej intensywności oraz intensywnych.
- Osoby starsze o ograniczonej mobilności, powinny wykonywać ćwiczenia fizyczne mające na celu poprawę równowagi oraz zapobieganie upadkom w ilości trzech lub więcej dni w tygodniu.
- Ćwiczenia wzmacniające mięśnie, angażujące główne grupy mięśni, należy wykonywać dwa lub więcej dni w tygodniu.
- Gdy osoby starsze ze względu na stan zdrowia nie mogą wykonywać ćwiczeń fizycznych w zalecanej ilości, powinny być na tyle aktywne fizycznie na ile pozwala im na to kondycja.
- Osoby nieaktywne zawodowo powinny rozpocząć od małych ilości aktywności fizycznej i stopniowo zwiększać czasu trwania, częstość i intensywność ćwiczeń. Osoby nieaktywne oraz z ograniczeniami spowodowanymi przez choroby osiągną dodatkowe korzyści zdrowotne, gdy staną się bardziej aktywne.
- Lekarze POZ powinni w ramach swojej praktyki prowadzić poradnictwo dotyczące aktywności fizycznej.

Wnioski z oceny programu gminy Legionowo

- W ramach programu mieszkańcy miasta w wieku senioralnym będą mogli skorzystać z bezpłatnych konsultacji kardiologicznych wraz z diagnostyką (EKG, ECHO, badanie poziomu cholesterolu we krwi) oraz konsultacji rehabilitanta wraz z pięciokrotną rehabilitacją.

Jednakże planowane przez wnioskodawcę interwencje dublują się z realizowanymi przez NFZ świadczeniami gwarantowanymi.

- Jednym z celów programu jest zmniejszenie różnic w dostępie do specjalistycznych świadczeń opieki zdrowotnej, jednakże jednocześnie wnioskodawca, ze względu na ograniczone środki finansowe, informuje, iż ilość miejsc w programie jest ograniczona i o możliwości uczestnictwa decyduje szybkość zgłoszenia się chętnych. Powstaje więc wątpliwość czy w programie zostanie zagwarantowany równy dostęp do proponowanych świadczeń.
- Adresatami programu mają być osoby w wieku senioralnym oraz zrzeszone w organizacjach pozarządowych. Wnioskodawca nie precyzuje jednak pojęcia „wieku senioralnego” (w publikacjach przyjmuje się, że jest to populacja 60+ lub 65+), nie jest również jasne, czy obydwa warunki uczestnictwa powinny być spełnione jednocześnie.
- Wnioskodawca nie sprecyzował czy adresatami programu mają być osoby z objawami ze strony układu naczyniowo-sercowego czy populacja ogólna, bezobjawowa. Dostępne dowody naukowe są niewystarczające do ustalenia zaleceń dotyczących rutynowego skryningu, przy pomocy EKG czy echokardiografii, w kierunku ryzyka chorób naczyniowo-sercowych u osób bezobjawowych.
- Osiągnięcie celów, jakimi jest m.in. zmniejszenie przedwczesnej umieralności na choroby sercowo-naczyniowe, poprawa sprawności fizycznej i psychicznej mieszkańców czy poprawa świadomości społecznej w zakresie profilaktyki chorób serca oraz narządów ruchu, nie jest możliwe w tak krótkim horyzoncie czasowym, w jakim swoje działania zakłada program, tj. od marca do grudnia 2013 r.
- Z opisu programu nie wynika, by wnioskodawca prowadził działania mające na celu poprawę sprawności psychicznej czy świadomości społecznej w zakresie profilaktyki, a tak sformułowane zostały jedno z celów programu, które najwyraźniej nie zostaną zrealizowane przez wnioskodawcę.
- Koszt programu został oszacowany na 20.000 zł, jednakże nie podano informacji na temat kosztów jednostkowych świadczeń.
- Wnioskodawca nie podał informacji na temat szacunkowej liczby osób, która może zostać objęta działaniami programu.

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

.....
[Redacted signature]

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48 ust. 2a ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, z uwzględnieniem raportu o programie: „Dbamy o zdrowie naszych seniorów” realizowanym przez gminę Legionowo, nr: AOTM-OT-441-301/2012, Warszawa marzec 2013 i aneksów: „Programy z zakresu profilaktyki chorób sercowo-naczyniowych – wspólne podstawy oceny”, Aneks do raportów szczegółowych, Warszawa, luty 2013 oraz „Programy w zakresie poprawy opieki nad osobami starszymi – wspólne podstawy oceny”, Aneks do raportów szczegółowych, Warszawa, listopad 2012



Opinia Rady Przejrzystości
nr 90/2013 z dnia 8 kwietnia 2013 r.
o projekcie programu „Projekt programu profilaktyki chodu
w wieku 55+ na lata 2012 - 2014” gminy Suszec

Rada Przejrzystości wydaje pozytywną opinię o projekcie programu „Projekt programu profilaktyki chodu w wieku 55+ na lata 2012 - 2014” gminy Suszec.

Uzasadnienie

Tytuł programu jest niewłaściwy. Program nie zawiera właściwie określonej populacji docelowej.

Autorzy projektu podają cel główny, cele szczegółowe, mierniki efektywności, metody ewaluacji oraz budżet. Program poszerza dostęp beneficjentów do oferowanych świadczeń.

Program wykorzystuje interwencje o udowodnionej skuteczności i zalecane w wytycznych, które zawarte są w koszyku świadczeń gwarantowanych z zakresu rehabilitacji leczniczej. Program powinien zawierać opis dopasowania interwencji rehabilitacyjnej do konkretnego pacjenta.

Program ma stanowić uzupełnienie świadczeń gwarantowanych z powodu niewystarczających środków finansowych pozyskiwanych z kontraktów zawieranych z NFZ, poszerzonych o akcje edukacyjne.

Przedmiot opinii

Przedmiotem niniejszej opinii jest projekt programu zdrowotnego, dotyczącego rehabilitacji osób starszych. Populację programu stanowią osoby w wieku 55-80 lat, zamieszkałe na terenie Gminy Suszec (ok. 2000). Głównym celem programu jest poprawa stanu zdrowia i jakości życia osób z zaburzeniami chodu. Jako cele szczegółowe wskazano: zwiększenie sprawności fizycznej osób objętych programem, zmniejszenie ryzyka rozwoju i częstości występowania chorób, w których powstaniu istotną rolę odgrywają zaburzenia chodzenia, poprawę jakości chodu, zwiększenie zakresu ruchu stawów obręczy kończyn dolnych, zwiększenie propriocepcji (czucia głębokiego) ciała, jako klucza w profilaktyce chodu.

Planowane działania obejmują: akcję informacyjną, kwalifikację do programu poprzez decyzję lekarza oraz realizację cyklu zabiegowego, w ramach którego przewidziane są następujące świadczenia rehabilitacyjne: ćwiczenia stabilizacyjne metodą Neurac'a, stretching medyczny metodą Evjenth'a, ćwiczenia neurologiczne metodą PNF, komputerowy test zaburzeń równowagi, propriocepcji i jakości chodu na bieżni, badanie reakcji stopy na podłoże (sposób obciążenia w czasie stania i chodzenia), ćwiczenia dobrane do dysfunkcji oraz instruktaż obejmujący zasady radzenia sobie w wykonywaniu codziennych czynności. Okres realizacji programu przypada na lata 2012-2014. Program ma być finansowany ze środków gminy Suszec. Budżet ma wynosić nie więcej niż 20 000 zł rocznie.

Problem zdrowotny



Postępujące starzenie się społeczeństwa, brak nawyków prozdrowotnych, stresujący tryb życia, degradacja środowiska naturalnego, nasilanie się częstotliwości różnego rodzaju wypadków, wreszcie postęp medycyny ratującej życie, ale nie zawsze umiejącej zapobiec skutkom chorób czy wypadków jest przyczyną stałego wzrostu liczby osób niepełnosprawnych w społeczeństwie. Niepełnosprawność jest problemem ogólnoswiatowym, stanowiącym cel szczególnie promowanych działań WHO i Komisji Europejskiej. Według ostatnich szacunków, około 15% ludności świata żyje z jakąś formą niepełnosprawności, z czego 2-4% doświadcza poważnych trudności w funkcjonowaniu. Mając na uwadze ulegający wydłużeniu średni czas życia, problem ten staje się niezwykle istotny, gdyż dłuższe życie nieuchronnie wiąże się z pogorszeniem sprawności zarówno fizycznej, jak i psychicznej. Oczywiście problem niepełnosprawności nie dotyczy tylko osób starszych. Może on wystąpić także wśród osób bardzo młodych, a nawet malutkich dzieci wskutek wad wrodzonych, chorób przewlekłych, wypadków czy urazów. Bez względu na przyczyny niepełnosprawności jest ona poważnym problemem społecznym.

Alternatywne świadczenia

Osobom niepełnosprawnym przysługują świadczenia z zakresu opieki zdrowotnej (w tym rehabilitacja lecznicza) - finansowane z budżetu Narodowego Funduszu Zdrowia, świadczenia opieki społecznej (w tym rehabilitacja społeczna i zawodowa) finansowane ze środków wydzielonych z PFRON (Państwowy Fundusz Rehabilitacji Osób Niepełnosprawnych).

Wnioski z oceny przeprowadzonej przez Agencję

Wnioski z oceny problemu zdrowotnego

Zgodnie z Rozporządzeniem Ministra Zdrowia z dnia 30 sierpnia 2009 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu świadczeń pielęgnacyjnych i opiekuńczych w ramach opieki długoterminowej, świadczenia gwarantowane z tego zakresu obejmują m. in. rehabilitację ogólną w podstawowym zakresie, prowadzoną w celu zmniejszenia skutków upośledzenia ruchowego oraz usprawnienia ruchowego, świadczenia psychologa, terapię zajęciową oraz edukację zdrowotną polegającą na przygotowaniu świadczeniobiorcy i jego rodziny lub opiekuna do samoopieki i samopielęgnacji w warunkach domowych.

Działania podejmowane w programach ukierunkowanych na zapobieganie niepełnosprawności oraz kompleksową terapię i rehabilitację niepełnosprawnych oraz zagrożonych niepełnosprawnością osób, jak również na aktywizację i integrację społeczną osób niepełnosprawnych wynikają z zadań jednostek samorządów terytorialnych określonych w ustawie o rehabilitacji zawodowej i społecznej oraz zatrudnianiu osób niepełnosprawnych (Dz.U. 2010 nr 214 poz. 1407 z późn. zm.), ustawie o ochronie zdrowia psychicznego (Dz.U. 1994 nr 111 poz. 535 z późn. zm.), ustawie o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. 2008 Nr 164 poz. 1027 z późn. zm.) oraz ustawach odpowiednich dla danych jednostek terytorialnych. Głównym celem podejmowanych działań jest umożliwienie osobom niepełnosprawnym pełnego uczestnictwa w życiu społecznym oraz tworzenie warunków do niezależnego, samodzielnego i aktywnego życia oraz do korzystania na zasadzie równości z praw ustanowionych dla ogółu obywateli. Programy te mają również pomóc osobom niepełnosprawnym w skutecznym i efektywnym korzystaniu z usług świadczonych na terenie tych jednostek samorządu terytorialnego.

Działania te wpisują się w światową jak i regionalne strategie działań na rzecz osób niepełnosprawnych. Zasadność prowadzenia przez samorzady programów zdrowotnych obejmujących kompleksową terapię i rehabilitację niepełnosprawnych, wydaje się uzasadniona wobec ograniczonej dostępności świadczeń rehabilitacyjnych finansowanych ze środków Narodowego Funduszu Zdrowia.

Programy zdrowotne poświęcone działaniom zapobiegającym wystąpieniu oraz pogłębieniu niepełnosprawności nie są programami o dobrze zdefiniowanym problemie zdrowotnym i ściśle określonej populacji. Niepełnosprawność jest pojęciem określającym, długotrwały stan, w którym występują pewne ograniczenia w prawidłowym funkcjonowaniu człowieka. Pojęcie to odnosi się do populacji zróżnicowanych pod kątem rodzaju (kategorii) niepełnosprawności, okresu życia, w którym

ona wystąpiła, przyczyny, czy stopnia niepełnosprawności, a tym samym populacji o różnych wymaganiach terapeutycznych, jak również edukacyjnych, czy społecznych, do realizacji których możliwe jest zastosowanie różnorodnych interwencji.

Kluczowe wnioski wynikające z wytycznych:

- Niezależnie od jednostki chorobowej; wytyczne podkreślają, że skuteczności terapii rehabilitacyjnej decyduje czas jej rozpoczęcia, kompleksowość i wielodyscyplinarność świadczeń, intensywność zajęć terapeutycznych, a także ciągłość. Zgodnie z zasadą kompleksowości rehabilitacji, rekomenduje się prowadzenie rehabilitacji przez zespół terapeutyczny obejmujący specjalistów reprezentujących różne dziedziny medycyny oraz nauk pokrewnych wykorzystywanych w terapii, którzy współpracują ze sobą i tworzą oraz modyfikują wielopłaszczyznowy program rehabilitacji.
- W szeroko pojmowanym procesie rehabilitacji wyróżnia się rehabilitację medyczną, społeczną i zawodową. Na rehabilitację medyczną (fizjoterapię) składają się: - kinezyterapia - fizykoterapia - masaż leczniczy.
- Wytyczne podkreślają, że plan rehabilitacji powinien być dostosowany do potrzeb wynikających ze stanu chorego. Nawet w obrębie jednej jednostki chorobowej, potrzeby rehabilitacyjne pacjentów różnią się znacznie, dlatego terapia rehabilitacyjna powinna być zindywidualizowana i prowadzona w oparciu o indywidualny plan interwencji, określający cele, typ(y), częstotliwość i intensywność działań, odpowiednich dla szczególnych potrzeb oraz możliwości chorych.
- Niezależnie od stosowanej interwencji powinno się zapewnić beneficjentowi dobrej jakości informacje na temat schorzenia oraz jego wpływu na życie, dostępnych opcji terapeutycznych oraz potencjalnych korzyści jak również ryzyka każdej z interwencji, jak również o innych dostępnych formach wsparcia. Przekazywanie informacji powinno odbywać się w przystępnej i przyswajalnej formie.
- Istotnym ograniczeniem w tworzeniu rekomendacji dotyczących rehabilitacji, wskazanym we wszystkich wytycznych, jest stwierdzenie na podstawie przeprowadzonych przeglądów systematycznych, brak lub niedostatek „odpowiednich metodologicznie” badań.
- Jak podkreśla National Centre for the Dissemination and Disability Research (NCDDR), współczesne standardy dowodów i metody stawiają wiele wyzwań dla dziedziny niepełnosprawności i rehabilitacji. Po pierwsze, w przypadku interwencji i programów z zakresu niepełnosprawności i rehabilitacji, standardy dla dowodów oraz metody wykorzystywane w wielu przeglądach systematycznych i metaanalizach identyfikują niewiele badań z Poziomu 1. Wiele przeglądów systematycznych i metaanaliz uwzględnia wyłącznie badania z randomizacją (RCT), uznawane powszechnie za najbardziej rygorystyczne metody oceny skuteczności interwencji. Z tego powodu niektóre niedawno opublikowane przeglądy wykazywały brak lub bardzo niewiele dostępnych dowodów. Chociaż, takie wyniki mogą odzwierciedlać bardziej niedobór dobrze kontrolowanych badań w dziedzinie niepełnosprawności i rehabilitacji, niż brak skuteczności interwencji, wyniki wskazujące na brak dowodów stanowią poważne i nieustające wyzwanie w dziedzinie niepełnosprawności i rehabilitacji.
- Niedostatek badań klinicznych w dziedzinie niepełnosprawności i rehabilitacji wynika w większości z natury oraz zakresu dziedziny. Zarówno w badaniach jak i praktyce, niepełnosprawność i rehabilitacja jest wyjątkowo szeroką, wielodyscyplinarną dziedziną obejmującą: biologiczne, psychologiczne, społeczne, ekonomiczne, prawne i środowiskowe czynniki związane z niepełnosprawnością.
- Charakter niepełnosprawności i rehabilitacji stanowi poważne wyzwania dla rozwoju wiedzy i identyfikacji dowodów, obejmując m.in.: duży zasięg i złożoność; znaczenie upewnocniania osób niepełnosprawnych (i włączania ich w podejmowanie decyzji o uczestnictwie), małe liczebności próby (głównie ze względu na niejednorodność i wynikającą z tego konieczność zindywidualizowania interwencji do potrzeb osoby), trudności lub niemożliwość przeprowadzenia pełnego zaślepienia badania czy kontrolowania względem placebo (wynika to z konieczności stosowania zindywidualizowanej interwencji), trudności z określeniem etycznej i praktycznej grupy kontrolnej, potrzeba stosowania technologii pomocniczych oraz adaptacji środowiska w celu poprawy czynności dnia codziennego lub jakości życia osób niepełnosprawnych, poziom

finansowania odpowiednie dla badań pilotażowych, rozwoju interwencji, czy wczesnego etapu badań jednak nie wystarczające dla przeprowadzenia prawdziwie rygorystycznego metodologicznie badania skuteczności; potrzeba rozwiązania kwestii dotyczących obszernych systemów społecznych obejmujący uwzględnienie środowiska społecznego, fizycznego i/lub ekonomicznego.

- Należy podkreślić duże znaczenie zaangażowania w proces rehabilitacji oraz objęcie działaniami edukacyjnymi rodziny i opiekunów rehabilitowanego.
- Pracownicy medyczni powinni uwzględniać szerzej pojęte potrzeby zdrowotne i socjalne, które mogą uwzględniać identyfikację i rozwiązanie kwestii ekonomicznych, prawa socjalnego, mieszkaniowych oraz pomocy społeczne. Lekarze powinni ocenić prawdopodobną skalę tych potrzeb, przy planowaniu w jaki sposób ich świadczenia zaspakajają potrzeby lokalnej społeczności.
- Osoby starsze powinny wykonywać co najmniej 150 minut ćwiczeń aerobowych o umiarkowanej intensywności w ciągu tygodnia lub przynajmniej 75 minut intensywnych ćwiczeń aerobowych w ciągu tygodnia lub w równoważnej ilości połączenie ćwiczeń o umiarkowanej intensywności oraz intensywnych. Ćwiczenia aerobowe powinny być wykonywane w seriach co najmniej 10-cio minutowych.
- Osoby starsze o ograniczonej mobilności, powinny wykonywać ćwiczenia fizyczne mające na celu poprawę równowagi oraz zapobieganie upadkom w ilości trzech lub więcej dni w tygodniu. Gdy osoby starsze ze względu na stan zdrowia nie mogą wykonywać ćwiczeń fizycznych w zalecanej ilości, powinny być na tyle aktywne fizycznie na ile pozwala im na to kondycja.
- Osoby nieaktywne zawodowo powinny rozpocząć od małych ilości aktywności fizycznej i stopniowo zwiększać czasu trwania, częstotliwość i intensywność ćwiczeń. Osoby nieaktywne oraz z ograniczeniami spowodowanymi przez choroby osiągną dodatkowe korzyści zdrowotne, gdy staną się bardziej aktywne.
- Lekarze POZ powinni w ramach swojej praktyki prowadzić poradnictwo dotyczące aktywności fizycznej.

Wnioski z oceny programu gminy Suszec

Przedmiotowy program dotyczy bardzo rozległych i ogólnych problemów zdrowotnych: niepełnosprawności i wad postawy w populacji osób starszych (od 55 do 80 r. ż) oraz realizuje następujące priorytety zdrowotne (Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 21 sierpnia 2009 r. w sprawie priorytetów zdrowotnych): ograniczenie skutków urazów powstałych w wyniku wypadków, w szczególności poprzez skuteczną rehabilitację osób poszkodowanych, zmniejszenie przedwczesnej zachorowalności i ograniczenie negatywnych skutków przewlekłych schorzeń układu kostno-stawowego, rozwój opieki długoterminowej, ze szczególnym uwzględnieniem kompensowania utraconej sprawności, poprawa jakości i skuteczności opieki geriatrycznej nad pacjentem w wieku podeszłym.

Program nie został przygotowany zgodnie z szablonem zaproponowanym przez AOTM. Brak jest m.in. informacji na temat powiązania działań programu ze świadczeniami zdrowotnymi finansowanymi ze środków publicznych, co w kontekście koszyka świadczeń gwarantowanych z zakresu rehabilitacji wydaje się istotną informacją. Program polegać ma w zasadzie na zakupie dodatkowych świadczeń z puli świadczeń gwarantowanych z zakresu rehabilitacji zawartych w załączniku do rozporządzenia Ministra Zdrowia z dnia 30 sierpnia 2009 r.

Jak wskazują autorzy projektu, profilaktyka zaburzeń chodu w formie zakupu świadczeń zdrowotnych była już realizowana na terenie Gminy Suszec w latach ubiegłych i spotkała się z dużą aprobatą mieszkańców.

Zaplanowano akcję informacyjną na temat programu. Informacje mają pojawić się w lokalnej gazecie, a także na stronie internetowej Gminy Suszec.

Wnioskodawca nie podał dokładnych i szczegółowych kryteriów włączania uczestników do programu. Jedyne kryterium jakie można wyczytać z treści projektu to wiek (55-80 lat). Oszacowano, iż przedmiotowy problem zdrowotny dotyczy ok. 2000 mieszkańców objętych programem, a

uprawnionych do udziału w programie w 2012 roku będzie ok. 3700 osób. Warto zaznaczyć, że wg GUS w 2011 Gminę Suszec zamieszkiwało ok. 2799 osób spełniających wiekowe kryterium włączenia do programu.

W treści projektu odnaleźć można także informację, że lekarze POZ i lekarze specjaliści podejmą na podstawie badania klinicznego pacjenta decyzję o kwalifikacji do programu. Nie wiadomo co zawierać będzie badania kliniczne. Wydaje się jednak, że proponowane w programie świadczenia dublują świadczenia gwarantowane zgodnie z Rozporządzeniem Ministra Zdrowia z dnia 30 sierpnia 2009 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu świadczeń pielęgnacyjnych i opiekuńczych w ramach opieki długoterminowej. Świadczenia gwarantowane z tego zakresu są realizowane w warunkach stacjonarnych oraz domowych. Świadczenia gwarantowane udzielane w warunkach stacjonarnych są realizowane w zakładach opiekuńczych dla osób dorosłych lub dla dzieci i młodzieży do ukończenia 18 roku życia. Świadczenia gwarantowane udzielane w warunkach stacjonarnych obejmują m.in. rehabilitację ogólną, prowadzoną w celu zmniejszenia skutków upośledzenia ruchowego oraz usprawnienia ruchowego.

Trudno jest się także odnieść do podanych kosztów badań, ponieważ nie wiadomo jakie świadczenie i w jakim zakresie dane świadczenie będzie zastosowane u beneficjenta. O zakresie rehabilitacji, jej przebiegu, a także ilości poszczególnych zabiegów i świadczeń decydować powinien lekarz specjalista w tym zakresie.

Odnosząc projekt opiniowanego programu do ogólnych kryteriów dobrze zaprojektowanego programu zdrowotnego (sformułowanych przez American Public Health Association) można stwierdzić, że:

- I. Program odnosi się do ważnego problemu zdrowotnego, którego efekty można skutecznie ograniczyć. Efekty programu trudno jest monitorować i oceniać.
- II. Program stwarza dostęp beneficjentów do oferowanych świadczeń, jest dobrze dopasowany do potrzeb grupy docelowej.
- III. Program wykorzystuje interwencje o udowodnionej skuteczności i zalecane w wytycznych, które zawarte są w koszyku świadczeń gwarantowanych z zakresu rehabilitacji leczniczej.
- IV. W projekcie programu przedstawiono budżet - 20 000 zł. Nie można orzec, czy planowany program w optymalny sposób spożytkuje dostępne zasoby.
- V. Autorzy projektu podają cel główny, cele szczegółowe, mierniki efektywności i metody ewaluacji. Jednak ze względu na charakter problemu zdrowotnego i planowanych interwencji należy uznać, że nie jest możliwa miarodajna i wiarygodna ocena skuteczności programu.

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

.....


Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48 ust. 2a ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, z uwzględnieniem „Projekt programu profilaktyki chodu w wieku 55+ na lata 2012 - 2014” realizowany przez gminę Suszec, AOTM-OT-441-108/2012, Warszawa, marzec 2013 i aneksów: „Programy z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych – wspólne podstawy oceny”, Aneks do raportów szczegółowych, Warszawa, sierpień 2011 oraz „Programy w zakresie poprawy opieki nad osobami starszymi – wspólne podstawy oceny”, Aneks do raportów szczegółowych, Warszawa, listopad 2012.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 91/2013 z dnia 8 kwietnia 2013 r.
o projekcie programu „Rehabilitacja lecznicza - fizjoterapia dzieci
i młodzieży niepełnosprawnej ruchowo oraz dzieci i młodzieży
z wadami postawy z terenu Gminy Sułkowice na lata 2013-2015”

Rada Przejrzystości wydaje pozytywną opinię o projekcie programu „Rehabilitacja lecznicza - fizjoterapia dzieci i młodzieży niepełnosprawnej ruchowo oraz dzieci i młodzieży z wadami postawy z terenu Gminy Sułkowice na lata 2013-2015”.

Uzasadnienie

Program został przygotowany prawidłowo. Autorzy projektu podają cel główny, cele szczegółowe, mierniki efektywności, metody ewaluacji oraz budżet. Program stwarza dostęp beneficjentów do oferowanych świadczeń, jest dobrze dopasowany do potrzeb grupy docelowej.

Program wykorzystuje interwencje o udowodnionej skuteczności i zalecane w wytycznych, które zawarte są w koszyku świadczeń gwarantowanych z zakresu rehabilitacji leczniczej.

Program ma stanowić uzupełnienie świadczeń gwarantowanych z powodu niewystarczających środków finansowych pozyskiwanych z kontraktów zawieranych z NFZ, poszerzonych o akcje edukacyjne.

Przedmiot opinii

Przedmiotem niniejszej opinii jest projekt programu zdrowotnego, dotyczącego rehabilitacji niepełnosprawnych dzieci i młodzieży. Populację programu stanowią dzieci i młodzież (ok. 80 uczestników rocznie), stale zamieszkujących Gminę Sułkowice, z orzeczoną niepełnosprawnością ruchową, stopniem niepełnosprawności lub zdiagnozowanymi wadami postawy. Głównym celem programu jest zapewnienie systematycznej rehabilitacji dzieciom i młodzieży z niepełnosprawnością ruchową, korygowanie zdiagnozowanych wad postawy oraz zapobieganie ich pogłębieniu. Jako cele szczegółowe wskazano: poprawę rozwoju psychofizycznego dzieci i młodzieży niepełnosprawnej; ograniczenie skutków niepełnosprawności; zapewnienie prawidłowego rozwoju aparatu mięśniowego, stabilizującego układ kostno - stawowy; zapewnienie prawidłowego rozwoju postawy ciała oraz zapobieganie progresji odległych następstw, wynikających ze zmian w układzie kostno - stawowym; zmniejszenie się liczby osób z diagnozowanymi wadami postawy.

Planowane działania obejmują: rekrutację uczestników, prowadzenie rehabilitacji leczniczej - indywidualnie dobranej dla każdego uczestnika, w tym: kinezyterapię, fizykoterapię, masaż leczniczy, hydroterapię, krioterapię; opracowanie w formie pisemnej, wskazówek i zaleceń dla rodziców do pracy z dzieckiem w domu; edukację dzieci, młodzieży, rodziców na temat poprawy ogólnej sprawności fizycznej oraz zapobieganiu wadom postawy.



Okres realizacji programu przypada na lata 2013-2015. Program ma być finansowany ze środków gminy Sułkowice. Budżet ma wynosić nie więcej niż 50 000 zł rocznie.

Problem zdrowotny

Niepełnosprawność jest problemem ogólnoswiatowym, stanowiącym cel szczególnie promowanych działań WHO i Komisji Europejskiej. Według ostatnich szacunków, około 15% ludności świata żyje z jakąś formą niepełnosprawności, z czego 2-4% doświadcza poważnych trudności w funkcjonowaniu. Mając na uwadze ulegający wydłużeniu średni czas życia, problem ten staje się niezwykle istotny, gdyż dłuższe życie nieuchronnie wiąże się z pogorszeniem sprawności zarówno fizycznej, jak i psychicznej. Oczywiście problem niepełnosprawności nie dotyczy tylko osób starszych. Może on wystąpić także wśród osób bardzo młodych, a nawet malutkich dzieci wskutek wad wrodzonych, chorób przewlekłych, wypadków czy urazów. Bez względu na przyczyny niepełnosprawności jest ona poważnym problemem społecznym.

Alternatywne świadczenia

Osobom niepełnosprawnym przysługują świadczenia z zakresu opieki zdrowotnej (w tym rehabilitacja lecznicza) - finansowane z budżetu Narodowego Funduszu Zdrowia, świadczenia opieki społecznej (w tym rehabilitacja społeczna i zawodowa) finansowane ze środków wydzielonych z PFRON (Państwowy Fundusz Rehabilitacji Osób Niepełnosprawnych).

Wnioski z oceny przeprowadzonej przez Agencję

Wnioski z oceny problemu zdrowotnego

Działania podejmowane w programie wynikają z zadań jednostek samorządów terytorialnych określonych w ustawie o rehabilitacji zawodowej i społecznej oraz zatrudnianiu osób niepełnosprawnych (Dz.U. 2010 nr 214 poz. 1407 z późn. zm.) oraz ustawach odpowiednich dla danych jednostek terytorialnych.

Głównym celem podejmowanych działań jest umożliwienie osobom niepełnosprawnym pełnego uczestnictwa w życiu społecznym oraz tworzenia warunków do niezależnego, samodzielnego i aktywnego życia oraz do korzystania na zasadzie równości z praw ustanowionych dla ogółu obywateli. Programy te mają również pomóc osobom niepełnosprawnym w skutecznym i efektywnym korzystaniu z usług świadczonych na terenie tych jednostek samorządu terytorialnego. Zasadność prowadzenia przez samorzady programów zdrowotnych obejmujących kompleksową terapię i rehabilitację niepełnosprawnych dzieci i młodzież, wydaje się uzasadniona wobec podkreślanej przez ekspertów klinicznych niewystarczających środków finansowych pozyskiwanych z kontraktów zawieranych z NFZ, na prowadzenie stałej wielospecjalistycznej i wielokierunkowej, a więc drogiej rehabilitacji, jakiej wymagają dzieci z niepełnosprawnością. Jak podkreślają eksperci finansowanie przez NFZ ogranicza się do działań leczniczych, co w przypadku dzieci niepełnosprawnych jest jednym z problemów, ale nie jedynym, np. działalność edukacyjna dzieci poddawanych długotrwałej rehabilitacji wykracza poza środki NFZ.

Programy zdrowotne skierowane do osób niepełnosprawnych nie są programami o dobrze zdefiniowanym problemie zdrowotnym i ściśle określonej populacji. Niepełnosprawność jest pojęciem określającym, długotrwały stan, w którym występują pewne ograniczenia w prawidłowym funkcjonowaniu człowieka. Pojęcie to odnosi się do populacji zróżnicowanych pod kątem rodzaju (kategorii) niepełnosprawności, okresu życia, w którym ona wystąpiła, przyczyny, czy stopnia niepełnosprawności, a tym samym populacji o różnych wymaganiach np. terapeutycznych, edukacyjnych i społecznych. Z tego powodu ich ocena zgodna z art. 31a ust. 1 ustawy dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, przewidująca m.in. ocenę skuteczności klinicznej i bezpieczeństwa, stosunku uzyskiwanych korzyści zdrowotnych do ryzyka zdrowotnego, stosunku kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych i skutków finansowych dla systemu ochrony zdrowia, w tym dla podmiotów zobowiązanych do finansowania świadczeń opieki zdrowotnej ze środków publicznych – byłaby niezwykle złożona i ze względu na

wymogi czasowe i dostępne zasoby ludzkie AOTM nie może być wykona na potrzeby oceny poszczególnych samorządowych programów zdrowotnych.

Z powyższych względów w raporcie oceny projektu programu ograniczono się do przedstawienia wiarygodnych opracowań i zaleceń dotyczących postępowania w przypadku niepełnosprawnych dzieci i młodzieży, wybranych na podstawie wskazanych w programach rodzajów niepełnosprawności, uwzględniając w procesie wyszukiwania opracowania wtórne dotyczące interwencji terapeutycznych

W przypadku zaleceń dotyczących rehabilitacji dzieci z porażeniem mózgowym (DPM), włączono wytyczne włoskie przedstawiające ogólne założenia rehabilitacji dzieci z DPM oraz opracowania Cincinnati Children's Hospital Medical Center zawierające zalecenia dotyczące konkretnych interwencji medycznych stosowanych w określonej populacji dzieci z DPM. Mimo przeprowadzonego przeglądu literatury medycznej, rekomendacje sformułowane we włoskich wytycznych oparte zostały bardziej na dużej ilości prac opisowych oraz stosowanej praktyce opartej na konsensusie ekspertów, niż na dowodach naukowych.

Wytyczne są zgodne w kwestii, że wszystkie dzieci w wieku przedszkolnym z ASD (spektrum zaburzeń autystycznych) powinny zostać poddane wczesnej interwencji, jak tylko znaczące potrzeby rozwoju zostaną stwierdzone przez przeszkolony personel, ponieważ wczesna interwencja wpływa na poprawę wyników. Istnieją dobrej jakości dowody wspierające zastosowanie intensywnej wczesnej interwencji behawioralnej (EIBI – Early Intensive Behaviour Intervention) jako opcji terapeutycznej w leczeniu dzieci z ASD w wieku przedszkolnym. Wytyczne są zgodne w kwestii rekomendowania uczestnictwa rodziców i opiekunowie dzieci w wieku przedszkolnym ze spektrum zaburzeń autystycznych (ASD) w programach edukacyjnych i umiejętnościowe. Terapia dziecka w wieku przedszkolnym z rozpoznaniem ASD, powinna być zindywidualizowana i prowadzona w oparciu o indywidualny plan interwencji, określający cele, typ(y), częstotliwość i intensywność działań, odpowiednich dla szczególnych potrzeb rozwojowych i edukacyjnych. Program wczesnej interwencji musi być dostosowany do indywidualnych potrzeb dziecka i rodziny.

Odnalezione rekomendacje dotyczące terapii i rehabilitacji dzieci i młodzieży z mózgowym porażeniem dziecięcym wskazują na konieczność kompleksowej terapii i rehabilitacji obejmującej realizację programu ćwiczeń fizycznych wzmacniających mięśnie (ogólnorozwojowy trening siłowy, ukierunkowany trening siłowy) uwzględniający wiek i stan pacjenta, czas i częstotliwość terapii – indywidualizacja terapii. Stosowanie interwencji hydroterapeutycznych może być zalecane w przypadku dzieci z porażeniem mózgowym, które wykazują deficyt wytrzymałości czy deficyt energetyczny, u których za cel terapeutyczny wyznaczono poprawę tych parametrów. Z powodu niewystarczających dowodów naukowych oraz braku konsensusu, nie można stworzyć rekomendacji dotyczących czasu trwania, częstotliwości, intensywności i strategii (model teoretyczny) stosowanych przy interwencji hydroterapeutycznej.

Mając na uwadze, że potrzeby terapeutyczno-rehabilitacyjne niepełnosprawnych dzieci i młodzieży zależą od rodzaju i stopnia niepełnosprawności, podstawą ich leczenia powinna być wczesna, wielospecjalistyczna, zindywidualizowana interwencja, o wyraźnej strukturze programu i jasno sformułowanych celach i priorytetach, charakteryzująca się systematycznością i ciągłością oddziaływań.

Zadania realizowane w zakresie wczesnego wspomaganie rozwoju dziecka obejmują: ustalenie wielospecjalistycznej diagnozy: lekarskiej, psychologicznej, logopedycznej oraz ocena sfery ruchowej dziecka (ocena stanu narządu ruchu i rozwoju ruchowego), opracowanie i wdrażanie szczegółowego, wielospecjalistycznego i kompleksowego programu postępowania w sferze psychicznej, ruchowej, społecznej i emocjonalnej rozwoju dziecka, śledzenie rozwoju dziecka poprzez ponawianie diagnozy oraz dostosowywanie programów rehabilitacyjnych i terapeutycznych do zmieniających się potrzeb rozwojowych i zdrowotnych dziecka, prowadzenie indywidualnych form terapii oraz edukacji dziecka, opracowanie i realizowanie psychologicznych programów wsparcia rodziny dziecka niepełnosprawnego, opracowanie i realizowanie programów terapeutyczno-edukacyjno-profilaktycznych dla rodzin, m.in. udzielanie rodzicom szczegółowych wskazówek oraz szkolenie w

zakresie metod i technik pielęgnacji, opieki, stymulacji rozwoju i usprawniania dziecka w warunkach domowych, a także informacji o systemie usług i zasobach społecznych, które mogą być im przydatne i są dostępne, dostarczanie rodzicom informacji o uprawnieniach i możliwych formach pomocy, niezbędnych adresach itp., pomoc w skontaktowaniu się rodziców z innymi rodzicami będącymi w podobnej sytuacji i z ich organizacjami.

Wczesne rozpoznanie wad rozwojowych w wyniku prowadzonej obserwacji i badań przesiewowych może doprowadzić do odpowiednio wczesnej oceny, diagnozy i włączenia leczenia, w tym interwencji rozwojowej. Potencjalne ryzyko związane z badaniem przesiewowym w kierunku zaburzeń rozwoju, związane jest z fałszywie dodatnim wynikiem testu, który może wpłynąć na zwiększenie skierowań na dalsze badania oraz może wiązać się ze zwiększonym niepokojem rodziców dziecka oraz z fałszywie ujemnym wynikiem, prowadzącym do zaniżenia liczby skierowań oraz - przy braku ciągłego monitorowania – do utrwalenia niepożądanych zmian.

Wnioski z oceny programu gminy Sułkowice

Przedmiotowy Program dotyczy bardzo rozległych i ogólnych problemów zdrowotnych: niepełnosprawności i wad postawy u dzieci i młodzieży oraz realizuje następujące priorytety zdrowotne (Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 21 sierpnia 2009 r. w sprawie priorytetów zdrowotnych): zmniejszenie przedwczesnej zachorowalności i ograniczenie negatywnych skutków przewlekłych schorzeń układu kostno-stawowego, poprawa jakości i skuteczności opieki zdrowotnej nad matką, noworodkiem i dzieckiem do lat 3; zapobieganie najczęstszym problemom zdrowotnym i zaburzeniom rozwoju fizycznego i psychospołecznego dzieci i młodzieży objętych obowiązkiem szkolnym i obowiązkiem nauki oraz kształcących się w szkołach ponadgimnazjalnych do ich ukończenia; rozwój opieki długoterminowej, ze szczególnym uwzględnieniem kompensowania utraconej sprawności.

Program nie został przygotowany zgodnie z szablonem zaproponowanym przez AOTM. Program polegać ma w zasadzie na zakupie dodatkowych świadczeń z puli świadczeń gwarantowanych z zakresu rehabilitacji zawartych w załączniku do rozporządzenia Ministra Zdrowia z dnia 30 sierpnia 2009 r. Jak wskazują autorzy projektu, wszystkie zaplanowane interwencje znajdują się w katalogu świadczeń gwarantowanych z zakresu rehabilitacji leczniczej. Niski limit świadczeń w ramach kontraktu z NFZ Niepublicznego Zakładu Opieki Zdrowotnej „VITAMED” powoduje, że dzieci i młodzież niepełnosprawna ma ograniczony dostęp do rehabilitacji leczniczej (w zakresie fizjoterapii, krioterapii, masażu leczniczego, hydroterapii) na terenie Gminy Sułkowice.

Zaplanowano akcję informacyjną na temat programu. Informacje mają pojawić się na stronach internetowych Urzędu Miejskiego w Sułkowicach, na łamach lokalnej prasy oraz przekazywane będą poprzez dyrektorów szkół i przedszkoli. Dostępne będą również w formie ulotek na terenie instytucji działających na terenie Gminy. Nie wyjaśniono na czym polegać ma monitorowanie i ewaluacja.

Wnioskodawca nie podał dokładnych i szczegółowych kryteriów włączenia danego uczestnika do programu. Autorzy projektu przedstawili analizę lokalnych potrzeb w zakresie rehabilitacji, z której wynika, że świadczeń w tym zakresie wymagać będzie ok. 160 dzieci. Programem objętych ma zostać ok. 80 dzieci – połowa potencjalnych uczestników. Nie wyjaśniono jakie będą kryteria włączające dzieci i młodzieży do programu. Nie wiadomo także co z tymi, którym nie udzielone zostaną świadczenia w ramach programu. Wydaje się jednak, że wnioskodawca chciał programem uzupełnić lukę spowodowaną niskim limitem świadczeń w ramach kontraktu z NFZ Niepublicznego Zakładu Opieki Zdrowotnej „VITAMED” i tym samym nijako inną drogą zapewnić bezpłatną rehabilitację dzieciom i młodzieży z terenu gminy.

Trudno jest się także odnieść do podanych kosztów badań, ponieważ nie wiadomo jakie dokładnie świadczenia i w jakim zakresie będzie zastosowane u danego beneficjenta.

Odnosząc projekt opiniowanego programu do ogólnych kryteriów dobrze zaprojektowanego programu zdrowotnego (sformułowanych przez American Public Health Association) można stwierdzić, że:

- I. Program odnosi się do ważnego problemu zdrowotnego, którego efekty można skutecznie ograniczać. Efekty programu trudno jest monitorować i oceniać.
- II. Program stwarza dostęp beneficjentów do oferowanych świadczeń, jest dobrze dopasowany do potrzeb grupy docelowej.
- III. Program wykorzystuje interwencje o udowodnionej skuteczności i zalecane w wytycznych, które zawarte są w koszyku świadczeń gwarantowanych z zakresu rehabilitacji leczniczej.
- IV. W projekcie programu przedstawiono budżet, który nie może być większy niż 50 000 zł. Nie można orzec, czy planowany program w optymalny sposób spożytkuje dostępne zasoby.
- V. Autorzy projektu podają cel główny, cele szczegółowe, mierniki efektywności i metody ewaluacji. Jednak ze względu na charakter problemu zdrowotnego i planowanych interwencji należy uznać, że nie jest możliwa miarodajna i wiarygodna ocena skuteczności programu.

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

.....


Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48 ust. 2a ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, z uwzględnieniem „Rehabilitacja lecznicza - fizjoterapia dzieci i młodzieży niepełnosprawnej ruchowo oraz dzieci i młodzieży z wadami postawy z terenu Gminy Sułkowice na lata 2013-2015” realizowany przez gminę Sułkowice, AOTM-OT-441-362/2012, Warszawa, marzec 2013 i aneksu: „Programy z zakresu kompleksowej rehabilitacji niepełnosprawnych dzieci i młodzieży”, Aneks do raportów szczegółowych, Warszawa, lipiec 2012.