



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 30/2021 z dnia 8 lutego 2021 roku

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

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje zmiany w programie polityki zdrowotnej Ministra Zdrowia „Program badań przesiewowych noworodków w Rzeczypospolitej Polskiej na lata 2019-2022”, pod warunkiem zapewnienia pacjentom zidentyfikowanym w programie odpowiedniej terapii, przy jednoczesnej kontroli wzrostu wydatków płatnika publicznego.

Uzasadnienie

Przedmiotem opinii Rady był projekt zmian w zapisach programu polityki zdrowotnej dotyczącego badań przesiewowych noworodków. Projekt jest zmienioną wersją poprzednio ocenianego projektu (ocenionego negatywnie) Zmiany w proponowanej wersji projektu odnoszą się do rozszerzenia panelu badań przesiewowych noworodków o badania w kierunku rdzeniowego zaniku mięśni (SMA). W zmienionej wersji programu uwzględniono praktycznie wszystkie uwagi zawarte w negatywnej opinii nr 97/2020. Oceniana zmiana w programie ma zostać wdrożona od roku 2021 w 10 województwach, a od roku 2022 na terenie całej Polski. Stopniowe wdrażanie na terenie całego kraju badań przesiewowych wynika ze względów organizacyjnych. Realizatorem programu będzie Instytut Matki i Dziecka.

Problem zdrowotny

Rdzeniowy zanik mięśni jest chorobą genetycznie uwarunkowaną, w przebiegu której dochodzi do obumierania motoneuronów rdzenia kręgowego, co w konsekwencji prowadzi do osłabienia i zaniku mięśni. Cechą SMA jest bardzo duża zmienność przebiegu klinicznego – od formy letalnej po postać dorosłą, o średniej przeżycia zbliżoną do populacji ogólnej. Choroba związana jest z mutacjami genu SMN1.

Na dzień 1 stycznia 2020 roku w Polskim Rejestrze SMA figurowało ponad 720 osób. Zgodnie z informacjami z laboratoriów genetycznych w Polsce, liczba rozpoznawanych przypadków SMA wynosi 40-45 rocznie. Około 30-35 z nich ma najcięższą, niemowlęcą postać choroby. Ocenia się, że mniej więcej jedna



na 35 osób w Polsce jest nosicielem mutacji genu SMN1, wywołującej SMA. Chorobę rozpoznaje się w którymś momencie życia u jednego na 5-8 tysięcy urodzonych dzieci w Polsce, z czego w ok. 80% przypadków w niemowlęctwie lub wczesnym dzieciństwie.

Projekt programu

Projekt programu wpisuje się w priorytet: „poprawa jakości skuteczności opieki okołoporodowej oraz opieki zdrowotnej nad matką, noworodkiem i dzieckiem do lat 3”, należący do priorytetów zdrowotnych wymienionych w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia.

Głównym założeniem programu jest obniżenie umieralności noworodków, niemowląt i dzieci z powodu chorób wrodzonych oraz zapobieganie ciężkiemu i trwałemu upośledzeniu fizycznemu i intelektualnemu, wynikającemu z tych chorób. W treści projektu uzupełniono cele szczegółowe o elementy związane z badaniem przesiewowym w kierunku SMA. Między innymi wskazano, że celem programu jest wczesne rozpoznanie i wdrożenie leczenia chorób wrodzonych objętych badaniem przesiewowym przez prowadzenie badań przesiewowych w kierunku SMA, skrócenie czasu od urodzenia dziecka do uzyskania pozytywnego wyniku genetycznego badania w kierunku SMA i rozpoczęcia leczenia w kierunku SMA, jak również opracowanie i upowszechnienie rekomendacji dla postępowania diagnostyczno-leczniczego dla rdzeniowego zaniku mięśni. W związku z faktem, że kluczowe dla skuteczności leczenia SMA jest jak najszybsze jego włączenie proponowane cele są właściwe, są także zgodne z wytycznymi klinicznymi i opiniami ekspertów.

W programie uwzględniono mierniki efektywności w tym bezpośrednio związane z badaniem przesiewowym w kierunku SMA w postaci „czasu (liczba dni) od urodzenia dziecka do diagnozy (data wydania wyniku testu genetycznego), przed wprowadzeniem badań przesiewowych oraz po ich wprowadzeniu. Monitorowanie czasu niezbędnego do postawienia właściwej diagnozy jest kluczowe z punktu widzenia jak najwcześniejszego włączenia leczenia. Populacją docelową programu są wszystkie dzieci urodzone w Polsce.

Wytyczne wskazują, że badanie przesiewowe w kierunku SMA jest zalecane (OTFR 2020, Glascock 2018, EFNS 2011). Niemniej rekomendacja UK NSC 2018, ze względu na brak badań wskazujących na skuteczność leczenia nusinersenem w populacji dzieci bez objawów choroby, nie zaleca wprowadzenia krajowego programu badań przesiewowych w kierunku rdzeniowego zaniku mięśni. Od wydania rekomendacji UK NSC 2018 pojawiły się nowe badania, które wskazują, że leczenie przedobjawowe może poprawiać rokowanie u dzieci z genetycznie potwierdzonym SMA (Vill 2019, NURTURE, Glascock 2018). Wszyscy eksperci kliniczni, którzy nadesłali opinie, podkreślają konieczność jak najszybszego wdrożenia badań przesiewowych w kierunku SMA.

W programie wskazano opis prowadzenia badań przesiewowych w kierunku SMA. W sposób szczegółowy odniesiono się do specyfikacji wykorzystywanych testów. Zaproponowano badanie przy wykorzystaniu testu RT-PCR, a następnie potwierdzenie wyniku badania testem MLPA. Po wykonaniu badań przesiewowych (RT-PCR i MLPA) i uzyskaniu wyniku pozytywnego w obu testach nastąpi skierowanie do ośrodka prowadzącego terapię SMA, gdzie nastąpi weryfikacja wyniku badania (pobranie próbki krwi). Sposób prowadzenia jest zgodny z rekomendacjami.

W ramach monitorowania i ewaluacji programu będzie prowadzona między innymi ocena liczby przeprowadzonych poszczególnych badań oraz ich koszt, liczby zakupionych testów i odczynników niezbędnych do przeprowadzenia badań, liczby noworodków, u których wykryto daną chorobę, liczby odmów wykonania badania, liczby zorganizowanych/przeprowadzonych szkoleń, liczby przeprowadzonych badań przesiewowych w porównaniu do liczby urodzeń z uwzględnieniem liczby odmów wykonania badania, liczby wykrytych chorób w danym roku kalendarzowym. Ponadto będzie przeprowadzona analiza różnic wieku postawienia diagnozy w okresie sprzed i po wprowadzeniu SMA do przesiewu.

Budżet programu

Wnioskodawca oszacował koszt jednostkowy wykonania badania laboratoryjnego w kierunku rdzeniowego zaniku mięśni na 10,83 zł w 2021 r. oraz 11,15 zł w 2022 r. Oszacowano również koszty testów i odczynników (13,86 zł – 2021 r. oraz 14,28 zł – 2022 r.). Koszt badań w kierunku SMA w 2022 roku przy przyjętym koszcie jednostkowym (25,43 zł) oraz liczbie planowanych badań (274 tys.) powinien wynosić 6,97 mln zł a nie 7,68 mln zł. Zgodnie z informacjami wnioskodawcy w związku z brakiem polskich danych dotyczących leczenia nusinersenem, nie jest możliwe przeprowadzenie pełnej analizy efektywności kosztowej i oszacowanie wydatków, które zostaną obniżone dzięki wczesnemu wykryciu rdzeniowego zaniku mięśni.

Zgodnie z analizą przeprowadzoną przez AOTMiT włączenie dzieci z wykrytym SMA przyczyni się do poniesienia wydatków związanych z kosztem leku oraz jego podania w wysokości ok. 41 mln zł w 1 roku trwania PPZ oraz ok. 100 mln zł w 2 roku trwania PPZ. Jednakże wydaje się, że ewentualny wzrost kosztów prowadzenia programu lekowego B102 będzie wynikał z wcześniejszego włączenia pacjenta do leczenia.

Uwagi Rady

Rada zwraca uwagę, iż główny problem jaki związany jest z programem przesiewowym to problem zapewnienia odpowiedniej terapii zwiększonej liczbie pacjentów z pozytywnym rozpoznaniem SMA i możliwego dużego wzrostu kosztów po stronie płatnika publicznego. W związku z tym, Rada uważa

za niezbędne wprowadzenie do programu leczenia chorych z SMA odpowiednich mechanizmów dzielenia ryzyka.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48a ust. 8 pkt 3, w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 3 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2020 r., poz. 1398), z uwzględnieniem raportu nr: OT.430.2.2021 „Opracowanie dotyczące oceny zasadności wprowadzenia zmian w zapisach programu polityki zdrowotnej pn. »Program badań przesiewowych noworodków w Rzeczypospolitej Polskiej na lata 2019-2022«, data ukończenia: 05.02.2021 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 31/2021 z dnia 8 lutego 2021 roku
o projekcie programu „Program profilaktyki raka szyjki macicy
mieszkanek Gminy Kalisz Pomorski na lata 2021-2023”

Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki raka szyjki macicy mieszkanek Gminy Kalisz Pomorski na lata 2021-2023”.

Uzasadnienie

Przedmiotem opinii jest projekt PPZ gminy Kalisz Pomorski z zakresu profilaktyki raka szyjki macicy na lata 2021-2023.

Opiniowany projekt wpisuje się w priorytet dotyczący „zmniejszenie zachorowalności i przedwczesnej umieralności z powodu nowotworów złośliwych”, należący do priorytetów zdrowotnych wymienionych w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dn. 27 lutego 2018 r. (Dz.U. 2018 poz. 469).

Populację docelową opiniowanego projektu programu stanowią kobiety zamieszkujące na terenie gminy Kalisz Pomorski w wieku: 18-39 lat. Autorzy programu szacują, że w każdym roku trwania programu przebadanych zostanie około 200 kobiet. Pięćdziesiąt kobiet będzie miało wykonane USG dopochwowe wraz z cytologią. U około 100 kobiet zostanie wykonane jedynie USG dopochwowe, a u ok. 50 kobiet jedynie cytologia. Dane dotyczące liczebności zostały zweryfikowane i na podstawie danych zamieszczonych na stronie internetowej GUS, populacja kobiet w wieku 18-69 lat w 2019 r. na terenie Kalisza Pomorskiego wynosiła 2 736 osób. W opisie dotyczącym populacji wnioskodawca nie wskazuje w jaki sposób kobiety będą kwalifikowane do poszczególnych grup. Wątpliwość budzi fakt zakwalifikowania kobiet w wieku 25-59 do interwencji realizowanych w PPZ.

Należy podkreślić, że kobiety ww. grupie wiekowej kwalifikują się do programu „Program profilaktyki raka szyjki macicy”. Dodatkowo w punkcie dot. kosztów wskazano, że badania dla ww. grupy wiekowej będą bezpłatne i realizowane w ramach programu ogólnopolskiego. Niejasny pozostaje zatem cel umieszczenia w PPZ badań dla populacji, która objęta jest programem ogólnopolskim.



W ramach Programu profilaktyki raka szyjki macicy wykonuje się badania:

- co 36 miesięcy u kobiet w wieku od 25 do 59 lat (przy określaniu wieku należy wziąć pod uwagę rok urodzenia);
- co 12 miesięcy u kobiet w wieku od 25 do 59 lat (przy określaniu wieku należy wziąć pod uwagę rok urodzenia) obciążonych czynnikami ryzyka (zakażonych wirusem HIV, przyjmujących leki immunosupresyjne, zakażonych HPV - typem wysokiego ryzyka).

Odnalezione rekomendacje wskazują, że przesiewowe badania cytologiczne należy rozpocząć u kobiet w 25 roku życia i powtarzać je co 3 lata (ACS 2020 - The American Cancer Society Guidelines for the Prevention and Early Detection of Cervical Cancer). Natomiast wytyczne USPSTF 2018 (United States Preventive Service Task Force) wskazują, że przesiewowe badania cytologiczne należy rozpocząć u kobiet w 21 roku życia i powtarzać je co 3 lata. Wytyczne ACP (American College of Physicians) z 2015 roku (które uzyskały poparcie dwóch innych amerykańskich towarzystw naukowych: ACOG - American College of Obstetricians and Gynecologists oraz ASCP - American Society for Clinical Pathology) podkreślają, że nie należy prowadzić badań przesiewowych w kierunku raka szyjki macicy u kobiet przed 21. rokiem życia oraz wykonywać ich częściej niż co 3 lata. Ww. rekomendacje zaznaczają, że badania przesiewowe należy zakończyć u kobiet po ukończeniu 65 lat, jeśli 3 kolejne badania cytologiczne lub 2 badania cytologiczne w połączeniu z testami w kierunku HPV w ciągu poprzednich 10 lat dały wynik ujemny, a ostatnie badanie wykonano w ciągu ostatnich 5 lat (ACP 2015). Również USPSTF (2018) nie zaleca badań przesiewowych w kierunku raka szyjki macicy u kobiet w wieku >65 lat, które miały wcześniejsze prawidłowe wyniki i nie należą do grupy obciążonej wysokim ryzykiem wystąpienia raka szyjki macicy.

Zgodnie z opiniami ekspertów klinicznych:

- Propagowanie działań cytologicznych w środowiskach lokalnych niesie za sobą wymierną korzyść.
- Obniżenie śmiertelności poprzez wcześniejsze wykrywanie (a co za tym idzie większy odsetek wyleczeń) stanowi korzyść z punktu widzenia zdrowia publicznego, jak i NFZ.
- Działania edukacyjne powinny być prowadzone w sposób systematyczny i długotrwały, dzięki czemu możliwe będzie osiągnięcie pozytywnych efektów odległych.
- Eksperci uznają zgodnie, że bardzo ważną kwestią, która nie może być pomijana w tego typu PZ jest prawidłowe monitorowanie (odsetek kobiet,

które zgłosiły się na badania profilaktyczne, liczba wykonanych cytologii w zestawieniu z odsetkiem wykrytych dysplazji).

W odniesieniu do opiniowanego projektu zidentyfikowano następujące uwagi:

- *Epidemiologia – opisano w sposób zdawkowy, nie odniesiono się do map potrzeb zdrowotnych.*
- *Cel główny – sformułowany w sposób zbyt ogólny.*
- *Cele szczegółowe – cele szczegółowe sformułowano nieprawidłowo.*
- *Mierniki efektywności – jeden wskaźnik nie spełnia funkcji miernika efektywności, a dwa pozostałe nie odnoszą się do celów programu.*
- *Populacja docelowa – wnioskodawca wskazuje grupę która objęta jest badaniami w ramach programu ogólnopolskiego.*
- *Planowane interwencje – wnioskodawca nie odnosi się do szczegółów zaplanowanych działań edukacyjnych. Rekomendacje nie odnoszą się do prowadzenia badania USG.*
- *Warunki realizacji PPZ dotyczące personelu, wyposażenia i warunków lokalowych – opisano w sposób zdawkowy.*
- *Monitorowanie – wnioskodawca nie zaplanował oceny jakości świadczeń.*
- *Ewaluacja – kompleksowa ocena efektywności podjętych działań będzie niemożliwa.*

Główne argumenty decyzji

Program powiela istniejący i finansowany przez NFZ program badań cytologicznych, ponadto proponuje badania USG, dla których brak jest dowodów naukowych na skuteczność w skryningu raka szyjki macicy.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48a ust. 8 pkt 3, w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 3 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2020 r., poz. 1398), z uwzględnieniem raportu nr: OT.441.147.2020 „Program profilaktyki raka szyjki macicy mieszkanek Gminy Kalisz Pomorski na lata 2021-2023”, data ukończenia: luty 2021 r. oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy z zakresu profilaktyki nowotworów narządów rodnych – wspólne podstawy oceny” z kwietnia 2015 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 32/2021 z dnia 8 lutego 2021 roku

o projekcie programu „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania nowotworów gruczołu krokowego wśród mieszkańców Gminy Kalisz Pomorski na lata 2021-2023”

Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania nowotworów gruczołu krokowego wśród mieszkańców Gminy Kalisz Pomorski na lata 2021-2023”.

Uzasadnienie

Populację docelową programu mają stanowić mężczyźni w wieku 50-69 lat, zamieszkujący na terenie gminy Kalisz Pomorski. Wnioskodawca wskazuje, że rocznie przebadanych zostanie około 150 mężczyzn, natomiast edukacją objęci zostaną wszyscy mieszkańcy gminy. Wnioskodawca zaplanował interwencje w postaci badania kwalifikacyjnego, badania per rectum oraz oznaczenia markera PSA w surowicy krwi.

Praktycznie wszystkie odnalezione rekomendacje wskazują, że prowadzenie badań przesiewowych w kierunku raka gruczołu krokowego w populacji bezobjawowych mężczyzn nie ma uzasadnienia (PTOK 2013, UK NSC 2016, SEOM 2016, ESMO 2015, 2016, Prescrire 2013, 2012, 2009, Cancer Council Australia i NHMRC 2016, RACGP 2016, CTFPHC 2014, ACP 2013, NZGG 2013, USPSTF 2012, ICSI 2012, ACPM 2008). Skryning w kierunku raka prostaty w oparciu o badanie PSA charakteryzuje się wysokim poziomem nadwykrywalności i przeddiagnozowania. Przegląd systematyczny USPSTF – Fenton 2018 określa ryzyko nadwykrywalności na 20-50%. W świetle wytycznych UK NSC 2016 główne szkody leczenia mężczyzn na podstawie fałszywie pozytywnego wyniku badania PSA nadal przewyższają korzyści. Z kolei RACGP w swoich rekomendacjach z 2016 r. stwierdza, że badanie per rectum nie jest już dłużej rekomendowanym badaniem, ze względu na niewystarczającą czułość w wykrywaniu raka prostaty na wczesnym etapie.

Podkreślenia wymaga ponadto, że badanie poziomu PSA oraz wstępna ocena gruczołu krokowego są świadczeniami gwarantowanymi finansowanymi ze środków publicznych. Są one dostępne w ramach podstawowej opieki zdrowotnej oraz ambulatoryjnej opieki specjalistycznej.



Dodatkowo, raport Agencji poświęcony projektowi ocenianego programu zawiera szereg uwag dotyczących sposobu sformułowania celu głównego, celów szczegółowych i planowanych mierników. W projekcie programu nie wskazano też żadnych szczegółów dotyczących akcji edukacyjnej, nie zaplanowano oceny jakości świadczeń, a w ramach oszacowanych kosztów nie uwzględniono kosztu badania kwalifikacyjnego i badania per rectum, co wskazuje na istotne niedoszacowanie zakładanego kosztu jednostkowego.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48a ust. 8 pkt 3, w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 3 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2020 r., poz. 1398), z uwzględnieniem raportu nr: OT.441.149.2020 „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania nowotworów gruczołu krokowego wśród mieszkańców Gminy Kalisz Pomorski na lata 2021-2023”, data ukończenia: luty 2021 r. oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy wczesnego wykrywania raka gruczołu krokowego – wspólne podstawy oceny”, grudzień 2018 r.