



# Doświadczenia AOTM w procesie oceny innowacyjnych technologii medycznych w zakresie świadczeń wykorzystywanych w neurologii

Krzysztof Mączka, AOTM

Warszawa, 15.06.2012 r.

# Zagadnienia

- Miejsce AOTM w kształtowaniu opieki zdrowotnej
- HTA czyli ocena technologii medycznych – Assessment i Appraisal
- Przegląd rekomendacji Rady Konsultacyjnej oraz uzasadnień do nich
- Przegląd rekomendacji Prezesa AOTM
- Rekomendacje Rady Przejrzystości
- Statystyki i wnioski

# Proces podejmowania decyzji refundacyjnych w Polsce



m.in

- Firmy farmaceutyczne
- Konsultanci Krajowi
- Prezes NFZ

Wniosek refundacyjny

zlecenie



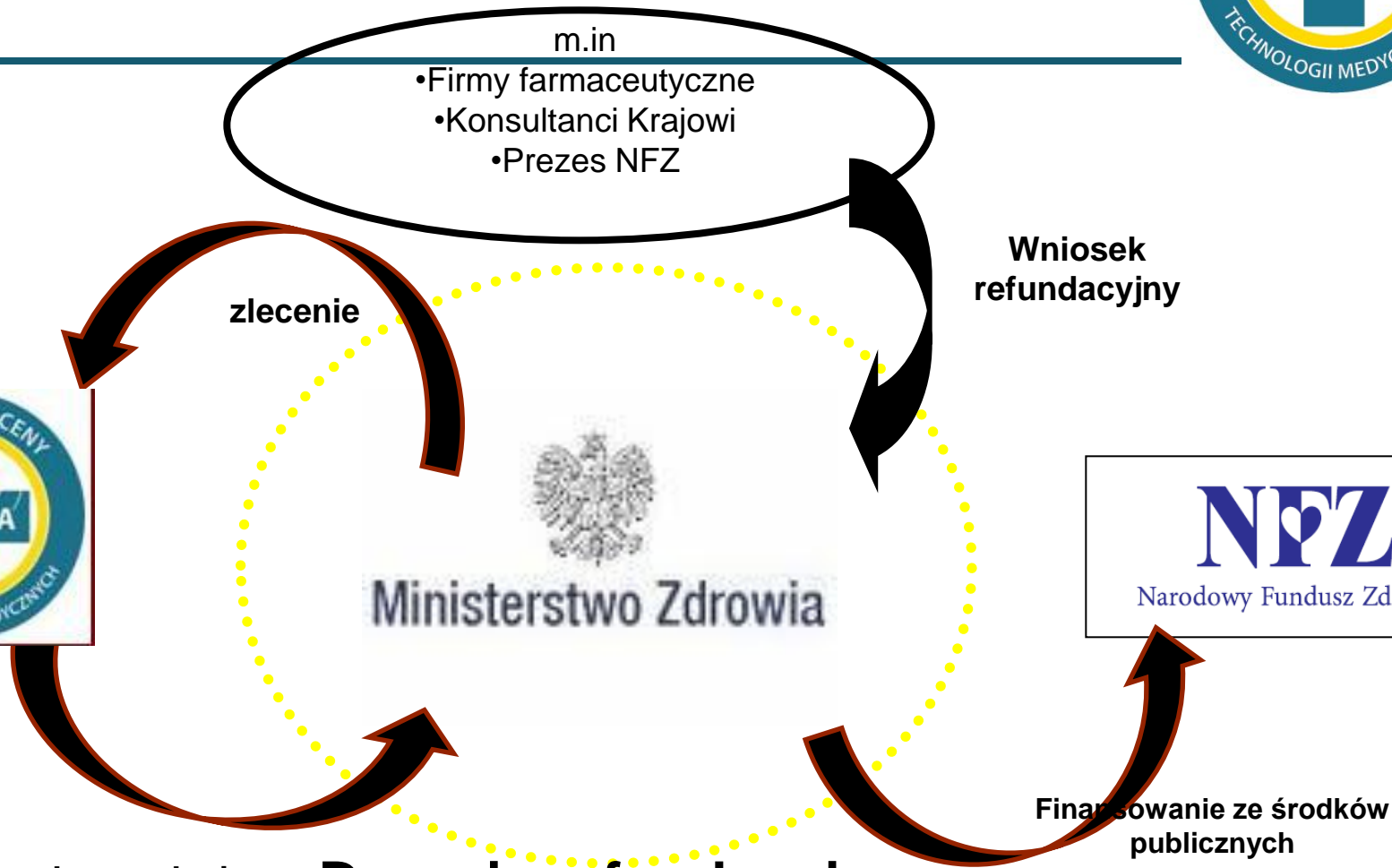
Ministerstwo Zdrowia

**NFZ**  
Narodowy Fundusz Zdrowia

rekomendacja

**Decyzja refundacyjna**

Finansowanie ze środków publicznych



# Assessment i appraisal

---



**Międzynarodowe standardy procesu HTA wyróżniają dwa odrębne procesy:**

- **Assessment - ocena analityczna;**
- Proces naukowy oparty na: systematycznie zebranych, wiarygodnych, najlepszych dostępnych dowodach naukowych;
- Ocena obiektywna na podstawie odnalezionych dowodów naukowych



# Assessment i appraisal

- **Appraisal - ocena (interpretacja) wartościująca;**
- Dokonywana niezależnie od „assessment”;
- Wartościowanie wniosków naukowych (z „assessment”);
- Poza dowodami naukowymi bierze również pod uwagę:
  - priorytety zdrowotne, skutki następstw choroby,
  - znaczenie dla zdrowia obywateli,
  - preferencje społeczne obywateli / pacjentów,
  - aspekty etyczne

„Appraisal” realizowany jest przez ciała doradcze (w Polsce – Rada Przejrzystości, Prezes AOTM).



# Rekomendacje RK 2007

## Terapie immunomodulujące w leczeniu stwardnienia rozsianego

### Rekomendacja

Uznając, iż stosowanie **interferonu beta** w leczeniu postaci rzutowo-remisyjnej SM jest interwencją o udowodnionej, ale niskiej efektywności klinicznej i niskiej opłacalności Rada **rekomenduje jej finansowanie** ze środków publicznych **pod następującymi warunkami:**

- ograniczenia kosztów zakupu leków,
- ograniczenia stosowania interferonu beta do grupy pacjentów mogących uzyskać największą korzyść zdrowotną,
- prowadzenia dobrej, niezależnej oceny efektywności praktycznej i kosztów stosowanej terapii w oparciu o rejestr pacjentów.

Z uwagi na **brak wystarczająco mocnych dowodów** na skuteczność **octanu glatiramery** w hamowaniu rzutów i spowalnianiu postępu choroby Rada **nie zaleca finansowania** ze środków publicznych leczenia stwardnienia rozsianego octanem glatiramery.

## pregabalina w leczeniu padaczki lekoopornej

### Rekomendacja

Na podstawie zarządzenia Ministra Zdrowia<sup>1</sup> Rada Konsultacyjna Agencji Oceny Technologii Medycznych **nie rekomenduje** finansowania ze środków publicznych leczenia **pregabalina** padaczki lekoopornej.

### Uzasadnienie rekomendacji

1. **Analiza** efektywności klinicznej przedstawiona przez wnioskodawcę jest **mało wiarygodna**. Niepełny przegląd dostępnych dowodów klinicznych dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa stosowania pregabaliny w padaczce uniemożliwia wyciągnięcie wiarygodnych wniosków.
2. Dostarczona **analiza ekonomiczna również ma istotne wady** czyniące ją mało wiarygodną. Wnioskodawca nie przedstawił dowodów naukowych umożliwiających wyciągnięcie wiarygodnych wniosków na temat kosztów efektywności stosowania pregabaliny w padaczce.

# Rekomendacje RK 2007 / 2008

## pregabalina w leczeniu bólu neuropatycznego

### Rekomendacja

Na podstawie zarządzenia Ministra Zdrowia Rada Konsultacyjna Agencji Oceny Technologii Medycznych **nie rekomenduje finansowania** ze środków publicznych leczenia **pregabalina** /.../ bólu będącego konsekwencją neuropatii cukrzycowej lub popółpaścowej.

### Uzasadnienie rekomendacji

1. **Analiza efektywności klinicznej** dostarczona przez wnioskodawcę jest **mało wiarygodna**. Niekompletna analiza dowodów klinicznych uniemożliwia wyciągnięcie wiarygodnych wniosków na temat skuteczności i bezpieczeństwa stosowania pregabaliny w bólu neuropatycznym.
2. Przedstawiona **analiza ekonomiczna** również ma **nieakceptowalny poziom wiarygodności**, ma istotne wady czyniące ją mało wiarygodną. Wnioskodawca nie przedstawił dowodów naukowych umożliwiających wyciągnięcie wiarygodnych wniosków na temat kosztów efektywności stosowania pregabaliny w bólu neuropatycznym.

## octan glatirameru w leczeniu stwardnienia rozsianego

### Rekomendacja

Rada Konsultacyjna Agencji Oceny Technologii Medycznych **rekomenduje** Ministrowi Zdrowia finansowanie ze środków publicznych **octanu glatirameru w leczeniu II rzutu** stwardnienia rozsianego w przypadku nieskuteczności lub nietolerancji terapii interferonami  $\alpha$  lub  $\beta$ , a w przypadku bardzo wyraźnego **obniżenia kosztów zakupu**, także w leczeniu **I rzutu**.

### Uzasadnienie rekomendacji

Octan glatirameru ma efektywność kliniczną podobną do interferonów, korzystnie wpływa na szereg wskaźników klinicznych charakteryzujących przebieg choroby i jest uwzględniany w zaleceniach dotyczących terapii stwardnienia rozsianego. Istnieje grupa pacjentów, którzy nie tolerują leczenia interferonami lub leczenie to jest u nich nieskuteczne. Uzyskanie efektów klinicznych przyjętych jako kryteria oceny wyników leczenia u pacjentów ze stwardnieniem rozsianym leczonych lekami immunomodulującymi jest bardzo kosztowne. Dlatego wskazane jest precyzyjne określenie wskazań do stosowania glatirameru i dążenie do **obniżenia kosztów** tego leku.



# Rekomendacje RK 2008

## flupirtyna w leczeniu zespołów bólowych kręgosłupa

### **Rekomendacja**

Rada Konsultacyjna **rekomenduje niefinansowanie flupirtyny** ponieważ brak podstaw do rekomendowania finansowania technologii medycznej ze środków publicznych.

### **Uzasadnienie rekomendacji**

Od czasu przedstawienia Radzie Konsultacyjnej wniosku o umieszczenie flupirtyny na liście leków refundowanych nie zostały opublikowane wyniki nowych badań oceniających efektywność flupirtyny we wnioskowanych wskazaniach. Dostępne jest tylko **jedno badanie** przeprowadzone w niewielkiej grupie, porównujące ten lek z placebo i sugerujące **niewielką korzyść kliniczną** z jego stosowania. **Brak jest wiarygodnych danych na temat efektywności kosztowej**. Dlatego nie ma wystarczających podstaw do umieszczenia flupirtyny w wykazie leków refundowanych.

## zonisamid w leczeniu wspomagającym u dorosłych pacjentów z padaczką lekooporną z napadami częściowymi przechodzącymi lub nieprzechodzącymi w napady uogólnione

### **Rekomendacja**

Rada Konsultacyjna **rekomenduje niefinansowanie zonisamidu** w leczeniu padaczki lekoopornej w ramach wykazu leków refundowanych.

### **Uzasadnienie rekomendacji**

Dostępne wyniki badań i przeglądów piśmiennictwa oraz opinie ekspertów wskazują, że zonisamid **wykazuje efektywność kliniczną podobną do innych leków** przeciwdrgawkowych stosowanych w skojarzonym leczeniu padaczki. Nie ma danych wskazujących na istnienie grupy pacjentów, u których stosowanie zonisamidu byłoby szczególnie skuteczne lub byłby on jedynym lekiem, który można zastosować. **Cena leku jest wysoka i brak jest wiarygodnej analizy ekonomicznej**. Wobec tego nie ma podstaw do finansowania zonisamidu ze środków publicznych.





# Rekomendacje RK 2009 (1)

## pregabalina w leczeniu bólu neuropatycznego

### **Rekomendacja**

Rada Konsultacyjna **rekomenduje finansowanie** ze środków publicznych w ramach wykazu leków refundowanych **pregabaliny** w leczeniu bólu neuropatycznego, **pod warunkiem ustalenia limitu na poziomie limitu cenowego dla gabapentyny.**

### **Uzasadnienie rekomendacji**

W leczeniu bólu neuropatycznego pregabalina ma **efektywność kliniczną podobną** do innych leków stosowanych w tym wskazaniu. Jest natomiast **bardziej kosztowna**. Wobec tego lek ten powinien być finansowany ze środków publicznych pod warunkiem ustalenia **limitu cenowego na poziomie gabapentyny.**

## rotygotyna w leczeniu zespołu i choroby Parkinsona

### **Rekomendacja**

Rada Konsultacyjna **rekomenduje niefinansowanie** ze środków publicznych **rotygotyny** w leczeniu zespołu i choroby Parkinsona, w ramach wykazu leków refundowanych.

### **Uzasadnienie rekomendacji**

Przedstawione dowody naukowe wskazują, że jakkolwiek rotygotyna **ma przewagę nad placebo** w zakresie kontroli objawów choroby Parkinsona, **jednak jest mniej skuteczna od innego agonisty dopaminy – ropirinolu**, leku obecnie refundowanego ze środków publicznych w Polsce. **Nie przedstawiono dowodów**, iż odmienna od innych leków stosowanych w tym schorzeniu droga podania – system transdermalny, przekłada się na **dodatkowy efekt terapeutyczny** lub jest bezpieczniejsza dla pacjenta. Przedstawione **analizy ekonomiczne są niewiarygodne** i nie pozwalają na wnioskowanie co do kosztów terapii rotygotyną. Wyraźnie **wyższy koszt jednostkowy leku** oraz niższa od porównywanego preparatu efektywność kliniczna sugerują jednak, że terapia rotygotyną jest droższa i nie daje przy tym dodatkowych korzyści klinicznych.

## Rekomendacje RK 2009 (2)

### rasagilina w leczeniu zespołu i choroby Parkinsona

#### Rekomendacja

Rada Konsultacyjna **rekomenduje niefinansowanie** ze środków publicznych **rasagiliny** w leczeniu zespołu i choroby Parkinsona, w ramach wykazu leków refundowanych.

#### Uzasadnienie rekomendacji

Wnioskodawca **nie przedstawił analiz** porównujących rasagilinę do selegiliny, leku z tej samej grupy inhibitorów MAO-B, powszechnie stosowanego, dużo mniej kosztownego i refundowanego ze środków publicznych w Polsce. Rasagilina jest efektywna w porównaniu do placebo, ale **brak możliwości porównania z selegiliną** uniemożliwia określenie wartości terapeutycznej w warunkach praktyki klinicznej oraz jest przyczyną **niskiej wiarygodności analiz ekonomicznych**. Dodatkowym argumentem za stosowaniem rasagiliny miałyby być jej domniemane działanie neuroprotektyjne, ale **nie przedstawiono wiarygodnych danych** wskazujących na takie działanie u chorych na chorobę Parkinsona.

### entakapon w leczeniu zespołu i choroby Parkinsona

#### Rekomendacja

Rada Konsultacyjna **rekomenduje niefinansowanie** ze środków publicznych **entakaponu** w leczeniu zespołu i choroby Parkinsona, w ramach wykazu leków refundowanych.

#### Uzasadnienie rekomendacji

Przedstawione dowody naukowe wskazują na **przewagę entakaponu nad placebo** w zakresie kontroli objawów choroby Parkinsona, ale sugerują również **niższą efektywność kliniczną od innych preparatów stosowanych w połączeniu z lewodopą**. **Koszt terapii** entakaponem **jest bardzo wysoki** i nie znajduje uzasadnienia w lepszej efektywności klinicznej lub bezpieczeństwie leczenia. Przedstawiona przez wnioskodawcę **nieaktualna i niewiarygodna analiza ekonomiczna** uniemożliwia ocenę efektywności ekonomicznej oraz wpływu refundacji na budżet.

# Rekomendacje RK 2009 (3)

## betahistyna w leczeniu choroby Meniere'a

### **Rekomendacja**

Rada Konsultacyjna **rekomenduje niefinansowanie** ze środków publicznych **dichlorowodorku betahistyny** w leczeniu choroby Meniere'a, w ramach wykazu leków refundowanych.

### **Uzasadnienie rekomendacji**

Stosowanie betahistyny w leczeniu choroby Meniere'a jest leczeniem objawowym. **Brak jest wiarygodnych dowodów** na skuteczność betahistyny w zapobieganiu utracie słuchu, zaś **dowody** na skuteczność leku w przeciwdziałaniu zawrotom głowy **są niskiej jakości**. Wnioskowany preparat jest lekiem generycznym, a betahistyna jest substancją czynną obecną w kilkunastu innych produktach. Lek jest powszechnie stosowany w zawrotach głowy niezależnie od ich przyczyny, w związku z czym **nie można wiarygodnie ocenić kosztów** związanych z jego refundacją. Wobec tego brak jest wystarczających danych do rekomendowania finansowania ze środków publicznych.

## toksyna botulinowa typu A w leczeniu spastyczności kończyny górnej po udarze mózgu

### **Rekomendacja**

Rada Konsultacyjna **rekomenduje** finansowanie ze środków publicznych preparatów **toksyny botulinowej typu A** w leczeniu spastyczności kończyny górnej po udarze mózgu, **w ramach terapeutycznego programu zdrowotnego NFZ**.

Rada Konsultacyjna **rekomenduje niefinansowanie** ze środków publicznych **toksyny botulinowej typu A** w leczeniu spastyczności kończyny górnej po udarze mózgu, **w ramach wykazu leków refundowanych**.

### **Uzasadnienie rekomendacji**

Toksyna botulinowa typu A zmniejsza napięcie mięśniowe oraz poprawia czynną i bierną ruchomość kończyny górnej u pacjentów ze spastycznością po udarze mózgu. Ponadto, terapia taka, u prawidłowo kwalifikowanych do leczenia pacjentów, poprawia użyteczność kończyny, co bezpośrednio wpływa na stopień sprawności chorego. Ze względu na konieczność przestrzegania ściśle określonych wskazań do stosowania i zakończenia tej terapii, potrzebę kompleksowego podejścia do rehabilitacji oraz wysoki koszt leków, **finansowanie toksyny botulinowej typu A** ze środków publicznych **powinno odbywać się w ramach terapeutycznego programu zdrowotnego**.

# Rekomendacje RK 2009 (4)

chlorowodorek tramadolu z paracetamolem w objawowym leczenie bólu o umiarkowanym i dużym nasileniu, który nie ustępuje po zastosowaniu leków przeciwbólowych o działaniu obwodowym

## Rekomendacja

Rada Konsultacyjna **rekomenduje** finansowanie ze środków publicznych **chlorowodorku tramadolu z paracetamolem** objawowym leczenie bólu o umiarkowanym i dużym nasileniu, **który nie ustępuje po zastosowaniu leków przeciwbólowych o działaniu obwodowym**, w ramach wykazu leków refundowanych, **z odpłatnością 50%, a ryczałtową w chorobach nowotworowych, pod warunkiem obniżenia ceny** do poziomu odpowiednika tramadolu o równoważnej mocy.

## Uzasadnienie rekomendacji

Lek jest preparatem złożonym, składającym się z dwóch powszechnie dostępnych i stosowanych substancji przeciwbólowych, o udowodnionej efektywności klinicznej w zwalczaniu bólu, podobnej do innych dostępnych na rynku opcji terapeutycznych. Działania niepożądane leku, głównie ze strony układu pokarmowego, są porównywalne do działań występujących po innych preparatach tramadolu. **Nie wykazano dodatkowych wartości** takiej postaci farmaceutycznej **preparatu w zakresie efektywności klinicznej, jakości życia bądź bezpieczeństwa stosowania, które uzasadniałyby zdecydowanie wyższy koszt** leku od innych preparatów zawierających tramadol.

I-FP-CIT SPECT w badaniu czynności układu dopaminergicznego mózgowia u pacjentów z niejednoznacznym obrazem klinicznym choroby Parkinsona

## Rekomendacja

Rada Konsultacyjna **rekomenduje** finansowanie ze środków publicznych zastosowania techniki **SPECT -FP-CIT** w badaniu czynności układu dopaminergicznego mózgowia u pacjentów z niejednoznacznym obrazem klinicznym choroby Parkinsona, **pod warunkiem kwalifikowania chorych do badania w ośrodkach specjalizujących się w leczeniu chorób układu pozapiramidowego** oraz **istotnego obniżenia ceny znacznika**.

## Uzasadnienie rekomendacji

Obrazowanie za pomocą DaTSCANR ma wysoką czułość, specyficzność i dokładność w schorzeniach przebiegających z uszkodzeniem neuronów dopaminergicznych i pozwala na postawienie prawidłowego rozpoznania u chorych z niejednoznacznym obrazem klinicznym, skracając czas do postawienia u nich prawidłowej diagnozy o 1-3 lat. Pozwala to na zastosowanie właściwego postępowania oraz uniknięcie niepotrzebnego i obciążonego działaniami niepożądanymi leczenia przeciwparkinsonowskiego.

# Rekomendacje RK (5) oraz Prezesa AOTM (1) - 2009



## lakozamid w leczeniu padaczki lekoopornej (RK)

### Rekomendacja

Rada Konsultacyjna **rekomenduje niefinansowanie** ze środków publicznych **lakozamidu** w leczeniu padaczki lekoopornej, w ramach wykazu leków refundowanych.

### Uzasadnienie rekomendacji

Lakozamid jest nowym preparatem o swoistym, niedokładnie poznanym mechanizmie działania, którego **efektywność kliniczna jest porównywalna z innymi lekami przeciwpadaczkowymi** stosowanymi w leczeniu wspomagającym napadów częściowych i wtórnie uogólnionych u pacjentów w wieku powyżej 16 lat. Lek ten jest krótko na rynku i **brak jest wiarygodnych danych na temat jego bezpieczeństwa** przy długotrwałym stosowaniu. Jednocześnie, **koszty leczenia lakozamidem są wysokie**. Wobec tego brak jest obecnie podstaw do finansowania tego preparatu ze środków publicznych.

## Leczenie dystonii ogniskowych i połowicznego kurczu twarzy (Prezes AOTM)

Prezes Agencji **rekomenduje** zmianę warunków realizacji świadczenia gwarantowanego „**leczenie dystonii ogniskowych i połowicznego kurczu twarzy**” w zakresie programu zdrowotnego, zgodnie z propozycją Ministra Zdrowia, zawartą w zleceniu z dnia 3 listopada 2009r.

### Uzasadnienie

Rekomendacja **dotyczy zmiany jedynie wymaganych od świadczeniodawców warunków realizacji świadczenia** gwarantowanego „leczenie dystonii ogniskowych i połowicznego kurczu twarzy” w zakresie programu zdrowotnego, zleconego Prezesowi Agencji przez Ministra Zdrowia /.../  
**Jednocześnie Prezes Agencji uważa za zasadne, aby określone przez Prezesa NFZ warunki realizacji przedmiotowego świadczenia gwarantowanego, wymagane od świadczeniodawców, nie wpłynęły negatywnie na dostępność do powyższego świadczenia.**



# Rekomendacje Prezesa AOTM (2) -2009

## Leczenie spastyczności w mózgowym porażeniu dziecięcym

Prezes Agencji **rekomenduje** zmianę warunków realizacji świadczenia gwarantowanego „**leczenie spastyczności w mózgowym porażeniu dziecięcym**” w zakresie programu zdrowotnego w kształcie zaproponowanym zleceniem Ministra Zdrowia z dnia 3 listopada 2009 r.

### **Uzasadnienie**

Rekomendacja dotyczy zmiany warunków realizacji świadczenia gwarantowanego „leczenie spastyczności w mózgowym porażeniu dziecięcym” w zakresie programu zdrowotnego, zleconego Prezesowi Agencji przez Ministra Zdrowia /.../

Prezes Agencji, biorąc pod uwagę stanowisko przygotowane przez Radę Konsultacyjną, uznaje za zasadne zmiany zaproponowane w zleceniu Ministra Zdrowia, polegające na zmianie niektórych warunków realizacji świadczenia „leczenie spastyczności w mózgowym porażeniu dziecięcym” w zakresie programu zdrowotnego, gdyż w jego ocenie **istotnie poprawią one dostęp pacjentów do nowoczesnych terapii w wymienionym schorzeniu**, przy zapewnieniu należytego monitorowania pacjentów i **optymalizacji wydatkowania finansowych środków publicznych**.

## Leczenie stwardnienia rozsianego

Prezes Agencji **rekomenduje** zmianę warunków realizacji świadczenia gwarantowanego, „**leczenie stwardnienia rozsianego**” w zakresie programu zdrowotnego, zgodnie z propozycją Ministra Zdrowia, zawartą w zleceniu z dnia 3 listopada 2009r.

### **Uzasadnienie**

Rekomendacja dotyczy zmiany jedynie wymaganych od świadczeniodawców warunków realizacji świadczenia gwarantowanego „leczenie stwardnienia rozsianego” w zakresie programu zdrowotnego, zleconego Prezesowi Agencji przez Ministra Zdrowia /.../

**Jednocześnie Prezes Agencji uważa za zasadne, aby określone przez Prezesa NFZ warunki realizacji przedmiotowego świadczenia gwarantowanego, wymagane od świadczeniodawców, nie wpłynęły negatywnie na dostępność do powyższego świadczenia.**

# Rekomendacje RK oraz Prezesa AOTM (1) - 2010



preparat złożony **levodopum, carbidopum, entacaponum** w chorobie Parkinsona, w ramach wykazu leków refundowanych

## **Stanowisko RK**

Rada Konsultacyjna **rekomenduje niefinansowanie** ze środków publicznych **preparatu złożonego levodopum, carbidopum, entacaponum** w chorobie Parkinsona, w ramach wykazu leków refundowanych.

## **Uzasadnienie stanowiska**

Rada uznała, że **wobec poprzedniego negatywnego stanowiska** dotyczącego entakaponu oraz **wyższego kosztu** preparatu złożonego niż koszt poszczególnych składników preparatu, nie ma podstaw do rekomendowania finansowania tego produktu leczniczego ze środków publicznych.

## **Wybudzanie dzieci ze śpiączki jako świadczenie gwarantowane**

Prezes Agencji **nie rekomenduje** zakwalifikowania „**Programu Wybudzania Dzieci ze Śpiączki**” w kształcie zaproponowanym w projekcie Programu, stanowiącym załącznik do zlecenia Ministra Zdrowia z dnia 14 kwietnia 2010 r. jako świadczenia gwarantowanego,

## **Uzasadnienie:**

Proponowane rozwiązanie w postaci utworzenia Programu Wybudzania Dzieci ze Śpiączki jako programu finansowanego ze środków publicznych **stanowi właściwy krok** mający na celu zapewnienie kontynuacji postępowania terapeutycznego i rehabilitacyjnego dzieci pozostających w stanie śpiączki po różnego rodzaju zdarzeniach związanych z uszkodzeniem ośrodkowego układu nerwowego. Należy zgodzić się z autorami Programu, że w Polsce **brak jest rozwiązań systemowych** w zakresie kompleksowej opieki specjalistycznej nad pacjentami pozostającym w stanie śpiączki. /.../

Dlatego, idea kompleksowej opieki nad pacjentem pozostającym w stanie śpiączki, która jest istotą realizacji „Programu Wybudzania Dzieci ze Śpiączki” wydaje się jak najbardziej słuszna i godna uznania, **nie mniej jednak koncepcja Programu** w wielu aspektach, **wymaga jeszcze dopracowania.**

# Rekomendacje Prezesa AOTM 2010 (1) oraz 2011 (1)



## Leczenie stwardnienia rozsianego przy wykorzystaniu produktu leczniczego **natalizumab** w ramach programu zdrowotnego NFZ

Prezes Agencji **rekomenduje** zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „leczenie stwardnienia rozsianego przy wykorzystaniu produktu leczniczego **natalizumab** w **ramach terapeutycznego programu zdrowotnego** Narodowego Funduszu Zdrowia”, jako świadczenia gwarantowanego, **pod warunkiem obniżenia kosztu terapii** do poziomu efektywności kosztowej zbliżonej **do wartości 3 x PKB / QALY per capita**.

### **Uzasadnienie**

Stwardnienie rozsiane, jako przewlekła choroba ośrodkowego układu nerwowego o wysokim ryzyku szybkiego postępowania niepełnosprawności, dotyka aktywnych zawodowo pacjentów często w młodym wieku, stanowiąc istotny problem zdrowotny dla społeczeństwa /.../ Z uwagi na charakter choroby i przedstawienie przez podmiot odpowiedzialny wyników analiz efektywności klinicznej oraz bezpieczeństwa wnioskowanej technologii w horyzoncie dwuletnim, **wnioskowanie o bezpieczeństwie terapii poza ten horyzont jest nieuprawnione. Populacja pacjentów** z doniesień naukowych, o które oparto analizy przedstawione przez podmiot odpowiedzialny **nie jest tożsama z populacją**, która ma wskazania rejestracyjne do terapii natalizumabem. /.../

## Zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „**Program wybudzania dzieci ze śpiączki w fazie B**” jako świadczenia gwarantowanego

Prezes Agencji **rekomenduje** zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „**Program wybudzania dzieci ze śpiączki w fazie B**”, jako świadczenia gwarantowanego finansowanego ze środków publicznych, realizowanego w ramach programów zdrowotnych, **na poziomie finansowania w zakresie od 513 zł do 853 zł kosztu osobodnia oraz po spełnieniu zaleceń Prezesa opisanych w rekomendacji**.

### **Uzasadnienie rekomendacji**

Wnioskowany projekt Programu wybudzania ze śpiączki w fazie B ma na celu stworzenie sieci specjalistycznych placówek medycznych, oferujących kompleksową oraz całodobową opiekę specjalistyczną (w tym z zakresu neurorehabilitacji), dedykowaną dzieciom znajdującym się w śpiączce B, wypełniając w ten sposób lukę w systemie opieki zdrowotnej /.../ **Szacowana przez AOTM maksymalna wielkość populacji docelowej wyniesie 250 pacjentów w skali jednego roku**.





# Rekomendacje Prezesa AOTM 2011 (2)

Zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „**Wszczepienie pompy baklofenowej w leczeniu spastyczności odpornej na leczenie farmakologiczne**” jako świadczenia gwarantowanego

Prezes Agencji **rekomenduje zakwalifikowanie** świadczenia opieki zdrowotnej „**wszczepienie pompy baklofenowej w leczeniu spastyczności odpornej na leczenie farmakologiczne**” **jako świadczenia gwarantowanego pod następującymi warunkami: obniżenia ceny pompy programowalnej do poziomu ceny pompy pneumatycznej, zmniejszenia ceny baklofenu dokanałowego oraz ścisłego przestrzegania określonych kryteriów kwalifikacji do leczenia** przy wykorzystaniu pompy baklofenowej.

## **Uzasadnienie rekomendacji**

Prezes Agencji przychylił się do stanowiska Rady Konsultacyjnej, iż zasadne jest zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „wszczepienie pompy baklofenowej w leczeniu spastyczności odpornej na leczenie farmakologiczne” jako świadczenia gwarantowanego /.../. Na podstawie przeglądu systematycznego badań bez grupy kontrolnej można wnioskować, że **leczenie baklofenem** podawanym dokanałowo w leczeniu spastyczności pochodzenia zarówno mózgowego jak i rdzeniowego **jest skuteczne**, a **terapia jest bezpieczna klinicznie**. /.../. Zgodnie z wyliczeniami analityków Agencji zastosowanie baklofenu podawanego dokanałowo jest opcją terapeutyczną **efektywną kosztową** /.../.



# Rekomendacje Prezesa AOTM 2011 (3)

Usunięcie z wykazu świadczeń gwarantowanych świadczenia opieki zdrowotnej „Leczenie stwardnienia rozsianego” / Zakwalifikowanie do wykazu świadczeń gwarantowanych świadczenia opieki zdrowotnej „Leczenie stwardnienia rozsianego”

**Prezes Agencji rekomenduje usunięcie** z wykazu świadczeń gwarantowanych /.../ świadczenia opieki zdrowotnej „**leczenie stwardnienia rozsianego**” w **zakresie oraz przy warunkach obecnie obowiązujących**.

#### **Uzasadnienie rekomendacji**

/.../ obecnie obowiązujący **program zdrowotny wymaga wprowadzenia zmian** ukierunkowanych na **zwiększenie dostępności pacjentów do przedmiotowej terapii**./.../

**Prezes Agencji rekomenduje zakwalifikowanie** świadczenia opieki zdrowotnej „**leczenie stwardnienia rozsianego**” /.../ w zakresie oraz przy warunkach realizacji zaproponowanych w załączniku do przedmiotowego zlecenia.

#### **Uzasadnienie rekomendacji**

/.../ Wnioskowany projekt programu zdrowotnego **poprawia** obecną sytuację w zakresie **dostępu pacjentów do terapii**, poprzez rozszerzenie grupy docelowej./.../



# Stanowiska RK i RP - 2012

lakoamid we wskazaniu: leczenie padaczki w III rzucie jako świadczenia gwarantowanego

## Stanowisko RK

Rada Konsultacyjna uważa za **zasadne zakwalifikowanie lakoamid** we wskazaniu: leczenie padaczki w III rzucie, jako świadczenia gwarantowanego, **pod warunkiem istotnego obniżenia ceny preparatu.**

## Uzasadnienie stanowiska

Padaczka lekooporna jest poważnym i niezrzedkim problemem klinicznym. Odrębny mechanizm działania lakoamid (pomimo że niedokładnie poznany) jest szansą dla tej grupy chorych, która nie odpowiada na dostępne leczenie. Ponieważ przyczyny lekooporności nie są do końca wyjaśnione, u niektórych pacjentów stosowanie lakoamid może przynieść pozytywny efekt terapeutyczny. Utrudniony dostęp do leku może ograniczyć możliwość indywidualizacji terapii, co powinno być standardem w opiece nad chorymi z padaczką. **Należy** jednak **obniżyć wysoką cenę** preparatu.

Opinia w sprawie wydania z urzędu decyzji o objęciu refundacją leku przy danych klinicznych, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w charakterystyce Produktu Leczniczego w zakresie **leków onkologicznych i pediatrycznych** – **leki przeciwpadaczkowe (off-label) w pediatrii**

## Opinia RP

Rada uważa za **zasadne objęcie refundacją**, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego w zakresie **leków onkologicznych i pediatrycznych pod warunkiem stosowania ww. w oparciu o aktualne dowody naukowe oraz wytyczne i dyrektywy etyczne międzynarodowych medycznych organizacji i towarzystw naukowych.**

Stanowisko Rady dotyczy zasady, jednocześnie Rada uważa, że **przekazana** w załączniku do zlecenia Ministra Zdrowia **lista leków stosowanych off-label jest niepełna.**

# Statystyki (1)

ŹRÓDŁO REKOMENDACJI	RODZAJ REKOMENDACJI	2007	2008	2009	2010	2011	2012
PREZES AOTM	POZYTYWNA			3		1	
	POZYTYWNA WARUNKOWA				1	2#	
	NEGATYWNA				1		
RADA KONSULTACYJNA	POZYTYWNA			1*			
	POZYTYWNA WARUNKOWA	1	1	3			2
	NEGATYWNA	3	2	5	1		
RADA PRZEJRZYSTOŚCI	POZYTYWNA WARUNKOWA						2

# wyjątek od programów zdrowotnych (pompa baklofenowa)

\* usunięcie leku z wykaztu leków refundowanych i stworzenie programu zdrowotnego

## Statystyki (2)

### REKOMENDACJE NEGATYWNE – POWODY:

1.	NISKA WIARYGODNOŚĆ ANALIZY EKONOMICZNEJ	8
2.	NISKA WIARYGODNOŚĆ ANALIZY KLINICZNEJ	6
3.	ZBYT WYSOKA CENA PRZY BRAKU ZNACZĄCYCH KORZYŚCI TEREPEUTYCZNYCH	6
4.	NISKA JAKOŚĆ PROGRAMU ZDROWOTNEGO	1

## Statystyki (3)

### REKOMENDACJE POZYTYWNE Z WARUNKAMI :

1.	ZNACZNE OBNIŻENIE CENY	9
2.	ZAWĘŻENIE POPULACJI DOCELOWEJ	6
3.	ZAŁOŻENIE I PROWADZENIE REJESTRU	1



**Dziękuję za uwagę...**

**[k.maczka@aotm.gov.pl](mailto:k.maczka@aotm.gov.pl)**