



BP.401.62.2024.AG

**Protokół z posiedzenia
Rady Przejrzystości 12/2025
w dniu 24 marca 2025 roku
w formie wideokonferencji**

Maciej Karaszewski otworzył posiedzenie o godzinie 10:49.

Członkowie Rady Przejrzystości (Rada) obecni przy rozpoczęciu posiedzenia (kworum 7 osób):

1. Andrzej Dąbrowski
2. Katarzyna Galas
3. Maciej Karaszewski
4. Elżbieta Lanc
5. Marcin Lipowski
6. Tomasz Pasierski
7. Jacek Rubik
8. Zbigniew Siudak
9. Anna Socha-Banasiak

Proponowany porządek obrad:

1. Omówienie powiązań branżowych i ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie stanowiska w sprawie zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej „Procedury regeneracyjne chrząstki z użyciem techniki AMIC (rekonstrukcji chrząstki stawowej z implantacją skafoldów), wszczepianie materiałów chrząstko-zastępczych” jako świadczenia gwarantowanego.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Erwinase (crisantaspasum) w ramach katalogu chemioterapii: C91.0 ostra białaczka limfoblastyczna w przypadku: stosowania w skojarzeniu z innymi chemioterapeutykami w leczeniu pacjentów pediatrycznych, u których wystąpiła nadwrażliwość (alergia kliniczna lub „cicha inaktywacja”) na pegylowaną L-asparaginazę pochodzącą z E. coli.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Reblozyl (luspaterceptum) w ramach programu lekowego B.142. „Leczenie dorosłych pacjentów z zespołami mielodysplastycznymi z towarzyszącą niedokrwistością zależną od transfuzji (ICD-10: D46.0, D46.1)”.
5. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program polityki zdrowotnej w zakresie wczesnego wykrywania wad wzroku u dzieci 7 letnich zamieszkujących na terenie miasta Sieradza”.

6. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program profilaktyki zaburzeń depresyjnych wśród nastolatków i młodych dorosłych na terenie Gminy Radwanice na lata 2025 - 2027”.
7. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program polityki zdrowotnej w zakresie profilaktyki nadwagi i otyłości wśród uczniów klas IV szkół podstawowych w Mieście Suwałki na lata 2025-2028”.
8. Zakończenie posiedzenia.

Ad 1. Tomasz Pasierski zgłosił konflikt interesów do tematu dot. leku Reblozyl, w związku z powyższym podczas głosowania jego głos liczony będzie jako wstrzymujący. Żaden z pozostałych członków Rady nie zadeklarował konfliktu interesów. Rada jednogłośnie (9 głosów „za”) przyjęła porządek obrad.

Ad 2. Analitik Agencji omówił raport w sprawie zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej dot. procedury regeneracyjnej chrząstki z użyciem techniki AMIC.

Projekt stanowiska Rady przedstawił Zbigniew Siudak, a w dyskusji głos zabrali: Andrzej Dąbrowski, Maciej Karaszewski, Zbigniew Siudak i Tomasz Pasierski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 7 głosami „za”, przy 2 głosach „przeciw” (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 1 do protokołu).

Ad 3. Analitik Agencji zaprezentował dane dot. wniosku refundacyjnego dla leku Erwinase.

Projekt stanowiska przedstawiła Anna Socha-Banasiak, a w doprecyzowaniu jego treści uczestniczyli Maciej Karaszewski i Anna Socha-Banasiak.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 głosów „za”) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 2 do protokołu).

Ad 4. Analitik Agencji streścił raport w sprawie leku Reblozyl.

Rada wysłuchała stanowiska eksperta i przedstawicieli pacjentów.

Projekt stanowiska Rady przedstawił Jacek Rubik.

W wyniku dyskusji, w której udział wzięli: Maciej Karaszewski, Andrzej Dąbrowski, Tomasz Pasierski i Jacek Rubik doprecyzowano treść uchwały, a następnie prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 8 głosami „za”, przy 1 głosie „wstrzymującym” z uwagi na zadeklarowany konflikt interesów (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 3 do protokołu).

Maciej Karaszewski i Zbigniew Siudak opuścili posiedzenie.

Prowadzenie posiedzenia przejął Przewodniczący Rady - Tomasz Pasierski.

Ad 5. Analitik Agencji omówił projekt programu polityki zdrowotnej miasta Sieradz z zakresu wczesnego wykrywania wad wzroku u dzieci 7 letnich.

Projekt opinii Rady przedstawił Andrzej Dąbrowski.

W dyskusji Rady udział wzięli Tomasz Pasierski i Andrzej Dąbrowski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (7 głosów „za”) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 4 do protokołu).

Ad 6. Analitik Agencji przedstawił główne informacje odnoszące się do programu polityki zdrowotnej gm. Radwanice w sprawie zaburzeń depresyjnych wśród nastolatków i młodych dorosłych, a projekt opinii Rady przedstawiła Katarzyna Galas.

W doprecyzowaniu treści opinii głos zabrali Tomasz Pasierski i Katarzyna Galas.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (7 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 5 do protokołu).

Ad 7. Analitik Agencji omówił program polityki zdrowotnej dot. profilaktyki nadwagi i otyłości wśród uczniów klas IV szkół podstawowych w Mieście Suwałki.

Projekt opinii Rady przedstawiła Elżbieta Lanc, a w doprecyzowaniu treści opinii udział wzięli Tomasz Pasierski i Elżbieta Lanc.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (7 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 6 do protokołu).

Ad 8. Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 13:58.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 34/2025 z dnia 24 marca 2025 roku
w sprawie zasadności kwalifikacji świadczenia opieki zdrowotnej
„Procedury regeneracyjne chrząstki z użyciem techniki AMIC
(rekonstrukcji chrząstki stawowej z implantacją skafoldów),
wszczepianie materiałów chrząstko-zastępczych” jako świadczenia
gwarantowanego

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „Procedury regeneracyjne chrząstki z użyciem techniki AMIC (rekonstrukcji chrząstki stawowej z implantacją skafoldów), wszczepianie materiałów chrząstko-zastępczych” jako świadczenia gwarantowanego, pod warunkiem ograniczenia stosowania metody do stawu skokowego i kolanowego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Chrząstka jest wyspecjalizowaną tkanką, której główne funkcje obejmują amortyzację, produkcję mazi stawowej i przenoszenie obciążeń. Jej uszkodzenia są problemem powszechnym, szczególnie u sportowców i osób starszych. Wywołujące je choroby (zwłaszcza zwyrodnieniowe) i urazy są jednym z głównych powodów niepełnosprawności w populacji dorosłych, przyczyniając się do obciążenia ekonomicznego poprzez koszty leczenia i utratę zdolności do pracy. Aktualne postępowanie w cięższych przypadkach obejmuje leczenie zachowawcze (w tym rehabilitację, leczenie farmakologiczne i ortobiologiczne), jak i operacyjne (w tym: mikroślamania, chondroplastykę, przeszczep autologiczny mozaikowy bloków chrzęstno-kostnych, ACI oraz metody wykorzystujące rusztowania/membrany: MACI/MACT i AMIC). Ww. metody umożliwiają skuteczne leczenie uszkodzeń chrząstki, przy czym część z nich nie jest obecnie finansowana w Polsce ze środków publicznych (metody ACI, MACI/MACT i AMIC).

Technika AMIC (ang. Autologous Matrix Induced Chondrogenesis) to jednoetapowa procedura regeneracji chrząstki, w której stosuje się trójwymiarową membranę umieszczaną nad ubytkiem po wykonaniu mikroślamań lub innych metod umożliwiających stymulację szpiku kostnego.

Metoda ta eliminuje konieczność pobrania zdrowej chrząstki do hodowli chondrocytów. Pozwala na stymulację szpiku kostnego, wspomagając chondrogenezę i regenerację tkanki chrzęstnej.

Dowody naukowe

Aktualne wytyczne kliniczne (7 dokumentów z Niemiec, USA, Wielkiej Brytanii i Indii oraz 1 wytyczne międzynarodowe) podkreślają, że metoda AMIC znajduje zastosowanie w przypadkach objawowych ubytków chrząstki pełnej grubości, zwłaszcza o umiarkowanej wielkości (DGOU 2023, NICE 2024, APTA 2018). Zaleca się jej stosowanie szczególnie w sytuacjach, gdy preferowana jest procedura jednoetapowa lub gdy pacjent nie kwalifikuje się do bardziej złożonych technik rekonstrukcyjnych, takich jak autologiczna implantacja chondrocytów (DGOU AGA 2017, Banerjee 2021). AMIC uznaje się za skuteczną alternatywę dla klasycznych mikroślamań, zwłaszcza w większych uszkodzeniach, ponieważ wykorzystanie membrany wspomaga regenerację poprzez stymulację szpiku kostnego i tworzenie korzystnego środowiska dla komórek naprawczych (ICMoCRA 2018, DGOU 2024).

W przypadku uszkodzeń stawu skokowego technika ta jest rekomendowana dla ubytków przekraczających 1 cm², a w uszkodzeniach kostno-chrzęstnych może być stosowana jako uzupełnienie przeszczepu kostnego, zwłaszcza w przypadku zmian torbielowatych (DGOU 2024, ICMoCRA 2018). Im mniejszy defekt tym mniejsze prawdopodobieństwo korzyści z dodatkowego zastosowania rusztowania (DGOU 2024). Metoda AMIC stanowi preferowaną opcję leczenia w porównaniu do samych mikroślamań, szczególnie u pacjentów z zaawansowanymi zmianami zwyrodnieniowymi stawu biodrowego (≥ 2 . stopnia według klasyfikacji Tönnisa) (DGOU AGA 2017). Wskazaniem do terapii regeneracyjnej chrząstki stawu kolanowego jest objawowe uszkodzenie chrząstki pełnej grubości, przy braku choroby zwyrodnieniowej stawów, a rozmiar uszkodzenia pozostaje najlepszym parametrem decydującym o wyborze procedury regeneracyjnej chrząstki. Stymulacja szpiku kostnego związana z membraną (taka jak procedura AMIC®) jest obecnie zalecana jako standardowa metoda leczenia uszkodzeń chrzęstnych o wielkości 1–4,5 cm² oraz uszkodzeń kostno-chrzęstnych (biomateriał i augmentacja kości) o wielkości 0–4 cm² (DGOU 2023).

Uszkodzenia chrząstki stawu kolanowego

Zastosowanie procedury AMIC, u pacjentów z ubytkami chrzęstnymi/chrzęstno-kostnymi stawu kolanowego wiązało się z istotną statystycznie i klinicznie poprawą w czasie (przed vs po zabiegu) w odniesieniu do oceny nasilenia bólu w skali VAS oraz większości zastosowanych skal oceny stanu funkcjonalnego stawu.

Wyniki badań włączonych do przeglądów systematycznych (badania o różnym typie i jakości metodologicznej) nie wskazują jednoznacznie na korzyść z zastosowania AMIC w porównaniu z innymi interwencjami, takimi jak m.in. MF. Również w zakresie analizy bezpieczeństwa odnalezione dowody naukowe wskazują na porównywalne profile bezpieczeństwa AMIC/rusztowań oraz technologii takich jak MF, ACI-C. Obserwowane w badaniach zdarzenia niepożądane w większości miały charakter łagodny lub umiarkowany.

Uszkodzenia chrząstki stawu skokowego

Niepowodzenie leczenia po zastosowaniu AMIC występowało rzadziej w porównaniu z technikami MF, OAT, MACT, jednakże uzyskane wyniki nie były istotne statystycznie. Ocena stanu funkcjonalnego stawu skokowego po zabiegu AMIC wskazuje na istotną statystycznie i klinicznie poprawę (względem wartości osiąganych przed zabiegiem) dla skal AOFAS oraz FFI. Brak istotności statystycznej lub klinicznej raportowano w odniesieniu do skali Tegnera. Zastosowanie procedury AMIC istotnie statystycznie i klinicznie redukowało nasilenie bólu w skali VAS w porównaniu do stanu przedoperacyjnego. W RCT, oceniającym zastosowanie u pacjentów rusztowania CartiFill w porównaniu z MF, osiągnięto lepsze, istotne statystycznie wyniki w grupie interwencji w zakresie odczuwanego bólu podczas aktywności fizycznej oraz jakości zregenerowanej chrząstki ocenianej wg systemu MOCART. Nie odnotowano istotnych statystycznie różnic pomiędzy grupami w ocenie nasilenia bólu w skali VAS oraz ocenie stanu funkcjonalnego stawu w skali HSS i AOFAS. Zastosowanie techniki AMIC wiązało się ze zróżnicowanymi wskaźnikami reoperacji (5%-58%) i rewizji.

Uszkodzenia chrząstki stawu biodrowego

Wskaźniki niepowodzenia leczenia były niższe w grupie AMIC vs MF, ale nie raportowano danych o istotności statystycznej porównania. Tylko w przypadku konwersji do THA możemy powiedzieć że wskaźnik ten był istotnie statystycznie niższy w grupie AMIC w porównaniu z MF.

Skumulowany wskaźnik udanych zabiegów (powodzenie leczenia) u pacjentów po zabiegu AMIC był bliski 100%. Pacjenci poddani AMIC nie wymagali konwersji do THA. Procedura AMIC poprawia istotnie statystycznie i klinicznie wyniki funkcjonalne pacjentów, oceniane względem stanu przed zabiegiem, w skali mHHS. Wyniki te są jednakże nieistotne w porównaniu z wynikami uzyskiwanymi u pacjentów leczonych innymi technikami (MF, MACI). Pacjenci po zabiegu AMIC, w porównaniu z MF, wymagali istotnie statystycznie rzadziej rewizyjnych zabiegów artroskopowych. Nie odnaleziono RCT oceniających zastosowanie ocenianej technologii.

Oceniane punkty końcowe miały głównie charakter subiektywnej oceny pacjentów w zakresie oceny bólu, funkcjonalności stawu oraz samopoczucia.

Powyższe stanowi szczególne ograniczenie związane z obserwowanym w obszarze badań nad chirurgią ortopedyczną efektem placebo (subiektywne poprawa niezwiązana z zastosowaną interwencją).

Problem ekonomiczny

Wytyczne refundacyjne we Francji i Wielkiej Brytanii uznają metodę jednoetapowego wszczepienia rusztowania w połączeniu z technikami stymulacji szpiku kostnego (we Francji wskazano wprost technikę mikrołamań, w Wielkiej Brytanii dopuszcza się szereg technik, np. mikrołamania lub aspirat szpiku kostnego) jako opcję naprawy objawowych uszkodzeń chrząstki stawu kolanowego. W obu państwach uznano, że dostępne dowody naukowe w wystarczającym stopniu uzasadniają jej włączenie do świadczeń finansowanych ze środków publicznych. W dokumentach z pozostałych państw (Austria, Niemcy, USA) nie zidentyfikowano pozytywnych rekomendacji refundacyjnych dla metody AMIC.

W jedynej zidentyfikowanej publikacji spełniającej kryteria włączenia do przeglądu analiz ekonomicznych uwzględniono metodę, której opis wskazuje, że jest metodą tożsamą do AMIC (stymulacja szpiku kostnego z zastosowaniem matrycy (ang. matrix-associated bone marrow stimulation, MBMS)). Wyniki badania wskazują, że zarówno schemat terapii, w którym stosowana jest ww. interwencja, jak i schemat uwzględniający metodę MACI jako główną interwencję chirurgiczną, są efektywne kosztowo.

Finansowanie ocenianego świadczenia zdrowotnego w Polsce będzie wiązało się ze znacznymi dodatkowymi kosztami dla płatnika publicznego.

Główne argumenty decyzji

- Wytyczne i zalecenia towarzystw naukowych,
- pozytywne opinie ekspertów we wnioskowanych wskazaniach,
- wyniki badań klinicznych (PS i RCT) wskazujących głównie na poprawę funkcjonalną i niższe nasilenie dolegliwości bólowych,
- pozytywne decyzje refundacyjne w części krajów EU.

Uwaga Rady:

Ze względu na innowacyjność metody, konieczne jest stałe monitorowanie efektów klinicznych (rozszerzenie Polskiego Rejestru Endoprotezoplastyk).

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31c ust. 6 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem raportu w sprawie oceny świadczenia opieki zdrowotnej nr: WS.420.19.2024 „Procedury regeneracyjne chrząstki z użyciem techniki AMIC (rekonstrukcji chrząstki stawowej z implantacją skafoldów), wszczepianie materiałów chrząstko-zastępczych – Ocena zasadności zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej”, data ukończenia: 19.03.2025 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 35/2025 z dnia 24 marca 2025 roku
w sprawie oceny leku Erwinase (crisantaspasum) w ramach
chemioterapii: C91.0 ostra białaczka limfoblastyczna

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Erwinase (kryzantaspaza), proszek do sporządzania roztworu do wstrzykiwań / do infuzji, 10 000 IU, 5 fioł., GTIN: 05056261700055, stosowanego w chemioterapii we wskazaniu: C91.0 ostra białaczka limfoblastyczna w przypadku: stosowania w skojarzeniu z innymi chemioterapeutykami w leczeniu pacjentów pediatrycznych, u których wystąpiła nadwrażliwość (alergia kliniczna lub „cicha inaktywacja”) na pegylowaną L-asparaginazę pochodzącą z E. coli, w ramach nowej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie, pod warunkiem obniżenia ceny.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Ostra białaczka limfoblastyczna (ang. acute lymphoblastic leukemia, ALL) jest najczęściej występującym nowotworem u dzieci, u których stanowi ok. 28% wszystkich nowotworów i nawet 80% ostrych białaczek. Szczyt zachorowań u dzieci przypada na 4–5 rok życia. Całkowite wyleczenie ostrej białaczki limfoblastycznej jest możliwe. U chorych z utrzymującą się całkowitą remisją ALL ryzyko nawrotu po 5 latach od początku leczenia jest znikome. Obecnie u dzieci odsetek 5-letnich przeżyć bez niekorzystnych zdarzeń przekracza 90%. Wznowa choroby występuje u 13–15% dzieci z ALL. Gorsze rokowania mają niemowlęta.

Erwinase stosuje się w skojarzeniu z innymi chemioterapeutykami w leczeniu pacjentów, głównie dzieci z ALL, u których wystąpiła nadwrażliwość (alergia kliniczna lub „cicha inaktywacja”) na pegylowaną asparaginazę pozyskiwaną z E. coli. Wnioskowane wskazanie refundacyjne jest zgodne ze wskazaniem rejestracyjnym. Zostało zawężone do populacji pediatrycznej i do stosowania kryzantaspazy wyłącznie po pierwszej linii terapii przy użyciu pegylowanej asparaginazy.

Erwinase było czterokrotnie przedmiotem oceny Agencji. Trzykrotnie oceniano świadczenie gwarantowane, a w jednokrotnej ocenie wniosku refundacyjnego zarówno Rada Przejrzystości, jak i Prezes Agencji pozytywnie zaopiniowali objęcie

refundacją kryzantaspazy stosowanej w leczeniu ostrej białaczki limfoblastycznej w przypadku reakcji nadwrażliwości na asparaginazę produkowaną przez *E.coli*. Dodatkowo Rada Przejrzystości zaleciła wprowadzenie instrumentu dzielenia ryzyka polegającego na finansowaniu lub współfinansowaniu przez producenta badania oceniającego aktywność L-asparaginazy, w przypadku wprowadzenia tego badania do rutynowej praktyki klinicznej.

Kryzantaspaza była refundowana w Polsce do 1 września 2021 r. Zaprzeszanie refundacji było spowodowane brakiem dostępności na rynku polskim. Aktualnie zgodnie z danymi NFZ substancja czynna kryzantaspaza refundowana jest w ramach procedury importu docelowego oraz w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych (RDTL).

Dowody naukowe

Do głównych ograniczeń analizy należy brak badań klinicznych porównujących bezpośrednio terapię z użyciem kryzantaspazy do terapii bez asparaginazy. W badaniu Gupta 2020 oceniono przeżycie całkowite (OS) i przeżycie wolne od zdarzeń (DFS) u pacjentów pediatrycznych z grupy wysokiego ryzyka wg NCI. Pacjenci w I linii leczenia stosowali pegylowaną asparaginazę; u części wystąpiła reakcja nadwrażliwości, w wyniku której konieczne było zaprzestanie terapii peg-ASP. U tych pacjentów albo wdrożono terapię kryzantaspazą albo zaprzestano terapii asparaginazami. Brak zastąpienia peg-ASP kryzantaspazą powodowało IS pogorszenie OS w porównaniu z pacjentami kontynuującymi terapię peg-ASP w analizie jednowymiarowej (HR= 1,5; 95%CI 1,1; 2,0; p=0,02) i brak różnic pomiędzy grupami w analizie wielowymiarowej (HR=1,2; 95%CI 0,9; 1,8; p=0,19). Natomiast brak zastąpienia peg-ASP kryzantaspazą powodowało IS pogorszenie DFS w porównaniu z pacjentami kontynuującymi terapię peg-ASP, zarówno w analizie jednowymiarowej (HR=1,5; 95%CI 1,2; 1,9; p=0,0009), jak i w analizie wielowymiarowej (HR=1,5; 95%CI 1,1; 1,9; p=0,002).

W żadnym z badań oceniających profil bezpieczeństwa (Salzer 2013, Vrooman 2016, Gupta 2020) nie wystąpiły zdarzenia niepożądane prowadzące do zgonu. W amerykańskich wytycznych NCCN 2025 zaleca się stosowanie asparaginazy w schematach wielolekowych w fazie indukcji oraz w fazie postindukcyjnej, obejmującej konsolidację. Wytyczne wskazują, że w praktyce klinicznej zastosowanie mają trzy formułacje asparaginazy: pegaspargaza, kalaspargaza i rekombinowana kryzantaspaza. U pacjentów z nadwrażliwością na preparaty zawierające asparaginazę z *E. coli* wskazana jest rekombinowana kryzantaspaza. Europejski konsensus EHA 2016 wskazuje, że u pacjentów, u których rozwinęła się kliniczna alergia lub cicha inaktywacja należy zmienić preparat asparaginazy: u pacjentów otrzymujących natywną asparaginazę *E. coli* można zastosować pegaspargazę lub kryzantaspazę (wybór leku zależy od protokołu leczenia i dostępności preparatu), zaś u pacjentów otrzymujących pegaspargazę można

zastosować wyłącznie kryzantaspazę (natywna asparaginaza E.coli nie powinna być rozważana jako opcja).

Reasumując, według aktualnych wytycznych klinicznych kryzantaspaza jest jedyną opcją terapeutyczną w przypadku wystąpienia u chorych na ALL reakcji nadwrażliwości na Peg-asparaginazę (NCCN 2024, NCI 2024, PPGLBC 2019, EHA 2016).

Według opinii eksperta klinicznego kryzantaspaza jest jedyną opcją leczenia w przypadku nadwrażliwości na klasycznie stosowany preparat L-asparaginazy.

Problem ekonomiczny

W perspektywie płatnika publicznego oszacowany ICUR wyniósł ok. 509 tys. zł/QALY. Powyższa wartość znajduje się powyżej progu opłacalności, o którym mowa w ustawie o refundacji.

Główne argumenty decyzji

- *Niezaspokojona potrzeba medyczna w przypadku wystąpienia u chorych na ALL reakcji nadwrażliwości na pegylowaną asparaginazę.*
- *Pozytywne rekomendacje kliniczne dotyczące zastosowania leku w ocenianej grupie chorych.*

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 930 z późn. zm.), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OT.423.2.1.2024 „Wniosek o objęcie refundacją leku Erwinase (kryzantaspaza) w ramach katalogu chemioterapii: C91.0 OSTRABIAŁACZKA LIMFOBLASTYCZNA w przypadku: stosowania w skojarzeniu z innymi chemioterapeutykami w leczeniu pacjentów pediatrycznych, u których wystąpiła nadwrażliwość (alergia kliniczna lub „cicha inaktywacja”) na pegylowaną L-asparaginazę pochodzącą z E. coli”, data ukończenia: 12 marca 2025 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 36/2025 z dnia 24 marca 2025 roku
w sprawie oceny leku Reblozyl (luspaterceptum) w ramach programu
lekowego: B.142. „Leczenie dorosłych pacjentów z zespołami
mielodysplastycznymi z towarzyszącą niedokrwistością zależną
od transfuzji (ICD-10: D46.0, D46.1)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego:

- *Reblozyl (luspaterceptum), proszek do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 25 mg, 1 fiol proszku, kod GTIN: 07640133688244,*
- *Reblozyl (luspaterceptum), proszek do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 75 mg, 1 fiol. proszku, kod GTIN: 07640133688251,*

w ramach programu lekowego B.142. „Leczenie dorosłych pacjentów z zespołami mielodysplastycznymi z towarzyszącą niedokrwistością zależną od transfuzji (ICD-10: D46.0, D46.1)”, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie, pod warunkiem obniżenia kosztów terapii poprzez pogłębienie zaproponowanego instrumentu dzielenia ryzyka.

Rada nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Nowotwory mielodysplastyczne (MDS) to grupa chorób nowotworowych szpiku kostnego, charakteryzujących się nieprawidłową produkcją komórek krwi. Prowadzi to do niedokrwistości, małopłytkowości i neutropenii, co zwiększa ryzyko infekcji, krwawień i osłabienia organizmu. MDS mogą przekształcić się w ostrą białaczkę szpikową (AML). Choroba częściej występuje u osób starszych i może mieć różne przyczyny, w tym ekspozycję na czynniki toksyczne lub wcześniejsze leczenie onkologiczne. Na rokowanie pacjentów z MDS z grup niższego ryzyka ma wpływ między innymi niedokrwistość i obciążenie przetoczeniami prowadzące do przetadowania żelazem oraz pojawiające się skaza krwotoczna małopłytkowa i zakażenia przyczyniające się do występowania ciężkich zakażeń lub krwawień będących przyczyną zgonów.

Reblozyl (luspatercept), czynnik promujący dojrzewanie komórek erytroidalnych, jest rekombinowanym białkiem fuzyjnym, które wiąże się z wybranymi ligandami białek z nadrodziny transformującego czynnika wzrostu β (TGF- β). Luspatercept

tłumi sygnalizację Smad2/3 przez wiązanie się ze specyficznymi ligandami endogennymi (np. GDF-11, aktywina B), co powoduje dojrzewanie komórek erytroidalnych poprzez wzrost i różnicowanie prekursorów erytroidalnych późnego stadium (normoblastów) w szpiku kostnym, przywracając w ten sposób efektywną erytropoezę.

Obecnie produkt leczniczy Reblozyl finansowany jest w ramach programu lekowego „Leczenie dorosłych pacjentów z zespołami mielodysplastycznymi z towarzyszącą niedokrwistością zależną od transfuzji (ICD-10: D46.1)” w leczeniu dorosłych pacjentów z anemią zależną od przetoczeń (≥ 2 jednostki KKCz w okresie 8 tygodni w ciągu 16 tygodni przed kwalifikacją do programu) w przebiegu nowotworów mielodysplastycznych o bardzo niskim, niskim lub pośrednim ryzyku wg R-IPSS z syderoblastami pierścieniowatymi (MDS-RS definiowane jest przy $\geq 15\%$ syderoblastów pierścieniowatych lub $\geq 5\%$ syderoblastów pierścieniowatych w przypadku obecności mutacji SF3B1), u których wystąpiła niedostateczna odpowiedź na leczenie lekami stymulującymi erytropoezę, lub którzy nie kwalifikują się do takiego leczenia.

W pierwszej połowie 2024 roku Komisja Europejska rozszerzyła rejestrację leku luspatercept o wskazanie do stosowania w pierwszej linii leczenia dorosłych pacjentów z niedokrwistością zależną od transfuzji z powodu zespołów mielodysplastycznych (MDS) o ryzyku bardzo niskim, niskim i pośrednim.

Wniosek dotyczy rozszerzenia refundacji leku Reblozyl zgodnie z rejestracją leku o grupę chorych:

- nieleczonych wcześniej lekami stymulującymi erytropoezę (ESA);
- chorych, u których wystąpiła niedostateczna odpowiedź na leczenie lekami stymulującymi erytropoezę (ESA), lub którzy nie kwalifikują się do takiego leczenia, bez pierścieniowatych syderoblastów (populacja RS-; tj. $< 15\%$ syderoblastów pierścieniowatych lub $< 5\%$ syderoblastów pierścieniowatych w przypadku obecności mutacji SF3B1).

Pozwoli to na objęcie finansowaniem leku w pełnej populacji rejestracyjnej, czyli chorych w wieku 18 lat i powyżej z niedokrwistością zależną od przetoczeń występującą w przebiegu nowotworów mielodysplastycznych o bardzo niskim, niskim lub pośrednim ryzyku wg RIPSS.

Wnioskodawca proponuje refundację leku w ramach istniejącego programu lekowego B.142 „Leczenie dorosłych pacjentów z zespołami mielodysplastycznymi z towarzyszącą niedokrwistością zależną od transfuzji (ICD-10: D46.0, D46.1)” i grupy limitowej, 1043.3, czynniki stymulujące erytropoezę – luspatercept.

Dowody naukowe

Do analizy wnioskodawcy włączono ostatecznie jedno badanie kliniczne z randomizacją oceniające luspatercept vs epoetyna alfa w populacji chorych nieleczonych ESA – próbę COMMANDS (przedstawione w publikacjach Platzbecker 2023 oraz Della Porta 2024, dodatkowe wyniki odnaleziono w opracowaniu EPAR 2024), które oceniało zastosowanie luspaterceptu vs epoetyna alfa u pacjentów z niedokrwistością zależną od przetoczeń z powodu nowotworów mielodysplastycznych (MDS) o ryzyku bardzo niskim, niskim i średnim wg IPSS-R, którzy nie otrzymywali leczenia środkami stymulującymi erytropoezę (ESA). Ponadto włączono jedno badanie prowadzone w ramach rzeczywistej praktyki klinicznej (Mukherjee 2024). Dodatkowo, uwzględniono również badanie PACE-MDS, w ramach którego można było wyróżnić wyniki dla pacjentów, u których wystąpiła niedostateczna odpowiedź na leczenie lekami stymulującymi erytropoezę, lub którzy nie kwalifikują się do takiego leczenia, bez pierścieniowatych syderoblastów (RS-), a także szereg badań (6 publikacji), które rozpatrywano w kierunku możliwości przeprowadzenia porównania luspaterceptu z darbepoetyną.

Niezależność od przetoczeń koncentratu krwinek czerwonych (RBC-TI)

Odnotowano istotnie większy odsetek pacjentów uzyskujących główny punkt końcowy (RBC-TI ≥ 12 tygodni + hemoglobina $\geq 1,5$ g/dl w tyg. 1-24) wśród chorych otrzymujących luspatercept, w porównaniu do chorych otrzymujących epoetynę: 58,5% vs 31,2%, RD = 26,6 (95% CI: 15,8; 37,4). Wyniki bardziej aktualnych analiz przedstawionych w publikacji Della Porta 2024 były zbliżone do tych obserwowanych w ramach analizy interim i prowadziły do podobnego wniosku: RD = 25,4 (95% CI: 15,8; 35,0). Konsekwentnie obserwowano istotnie wyższy odsetek pacjentów w grupie luspaterceptu wobec grupy epoetyny, uzyskujących RBC-TI trwającą przynajmniej 8, 12, lub 24 tygodnie, zarówno w ocenie interim, jak i w uaktualnionej ocenie raportowanej w publikacji Della Porta 2024 oraz opracowaniu EPAR 2024.

Odpowiedź czerwonokrwinkowa na leczenie (HI-E)

Pacjenci otrzymujący luspatercept znacznie częściej uzyskiwali odpowiedź czerwonokrwinkową na leczenie w porównaniu do pacjentów otrzymujących epoetynę: 74,2% vs 51,3%, a różnice były istotne: RD = 22,3 (95% CI: 11,8; 32,8) punktów procentowych. Wyniki analizy interim zostały potwierdzone również w uaktualnionej analizie przedstawionej w publikacji Della Porta 2024: RD = 21,5 (95% CI: 12,2; 30,7) punktów procentowych.

Obciążenie przetoczeniami

Obserwowano istotnie mniejsze obciążenie przetoczeniami w grupie LUS, w porównaniu do grupy EPO: średnia liczba jednostek koncentratu czerwonych krwinek odpowiednio w tych grupach wynosiła 3,90 (SD: 6,00) oraz 5,40 (SD: 6,50): MD = -1,50 (95% CI: -2,91; -0,09). Uaktualniona analiza prezentowana w publikacji Della Porta 2024 przyniosła podobne rezultaty: MD = -1,40 (95% CI: -2,66; -0,14). W ramach analizy w podgrupach obserwowano podobny trend, co w głównej analizie – pacjenci otrzymujący luspatercept częściej uzyskiwali zmniejszenie zapotrzebowania na jednostki pakietów krwinek w ramach przetoczeń o przynajmniej 50%, zarówno w ciągu 12 tygodni, jak również w ciągu 24 tygodni leczenia (wyjątek stanowiły mało liczne podgrupy, jak RS-). Czas do pierwszego przetoczenia koncentratu czerwonych krwinek (analiza interim) był istotnie wydłużony wśród chorych otrzymujących luspatercept: mediana 168 (95% CI: 64; 323) dni w porównaniu do 42 (95% CI: 22; 55) dni w grupie epoetyny, HR = 0,557 (95% CI: 0,415; 0,747). Zbliżone wyniki raportowano w uaktualnionej analizie prezentowanej w publikacji Della Porta 2024: HR = 0,58 (95% CI: 0,45; 0,75). Odsetek pacjentów, u których nastąpiło zmniejszenie zapotrzebowania na pakiety przetoczeń o przynajmniej 50% był wyższy wśród pacjentów w grupie LUS w porównaniu do EPO, zarówno w ciągu ≥ 12 tygodni (81,6% vs 65,6%), jak i w ciągu 24 tygodni obserwacji (74,2% vs 47,4%) – obserwowane różnice w obu przypadkach były znamienne statystycznie, odpowiednio RD = 14,5 (95% CI: 4,9; 24,2) oraz RD = 25,4 (95% CI: 15,1; 35,8). Wyniki potwierdzono również w uaktualnionej analizie raportowanej w publikacji Della Porta 2024: 15,3 (95% CI: 6,8; 23,8) oraz RD = 20,9 (95% CI: 11,5; 30,2). Pacjenci otrzymujący luspatercept uzyskiwali istotnie dłużej zmniejszenie o przynajmniej połowę zapotrzebowania na przetoczenia, w porównaniu do grupy epoetyny, zarówno w analizie interim: HR = 0,420 (95% CI: 0,257; 0,686), jak i w uaktualnionej ocenie: HR = 0,479 (95% CI: 0,317; 0,723). Podobne wyniki obserwowano rozpatrując zmniejszenie utrzymujące się przez przynajmniej 24 tygodnie – w ramach analizy interim HR = 0,388 (95% CI: 0,196; 0,771), natomiast w uaktualnionej analizie opisanej w opracowaniu EPAR 2024 HR = 0,409 (95% CI: 0,317; 0,723).

Średnia zmiana stężenia hemoglobiny

W grupie luspaterceptu obserwowano wzrost stężenia hemoglobiny średnio o 2,00 (SD: 1,10) g/dl po 24 tygodniach, w porównaniu do mniejszego wzrostu w grupie otrzymującej epoetynę: 1,40 (SD: 1,20). Obserwowane różnice były znamienne statystycznie: MD = 0,60 (95% CI: 0,34; 0,86) g/dl. Podobne wyniki (zmiana średnio o 2,0 g/dl) odnotowano w ramach uaktualnionej analizy opisanej w publikacji Della Porta 2024 – różnice średnich pomiędzy analizowanymi grupami wyniosły 0,50 (95% CI: 0,27; 0,73) g/dl. W ramach uaktualnionej oceny przedstawionej w doniesieniu Komroki 2023 oraz

opracowaniu EPAR 2024 przedstawiono również wyniki dla oceny odsetka pacjentów, którzy uzyskali zwiększenie stężenia hemoglobiny o przynajmniej 1,5 g/dl w tygodniach 1-24, a także informacje odnośnie czasu trwania takiej poprawy. Obserwowano istotnie wyższy odsetek pacjentów uzyskujących opisywane zwiększenie stężenia hemoglobiny w grupie otrzymującej luspatercept, w porównaniu do grupy kontrolnej: RD = 22,0 (95% CI: 12,3; 31,6). Również czas utrzymania się opisywanej poprawy stężenia hemoglobiny był dłuższy wśród pacjentów otrzymujących luspatercept – mediana tego czasu wynosiła w tej grupie 71,9 (95% CI: 53,9; 91,9) tygodni, w porównaniu do 47,9 (95% CI: 35,7; 68,9) tygodni w grupie epoetyny; ryzyko utraty opisywanej poprawy stężenia hemoglobiny było istotnie niższe wśród chorych otrzymujących luspatercept: HR = 0,552 (95% CI: 0,374; 0,815).

Ryzyko transformacji w ostrą białaczkę szpikową

W ramach analizy interim częstość występowania transformacji w AML była podobna w obu analizowanych grupach: 2,3% vs 2,8%; HR = 0,821 (95% CI: 0,214; 3,147). Podobnie, w uaktualnionej analizie (EPAR 2024) odsetek ten nie uległ większym zmianom (2,7% vs 3,3%), a różnice pomiędzy grupami również nie były istotne statystycznie: HR = 0,913 (95% CI: 0,270; 3,082). Również w analizie wykonanej z odcięciem danych we wrześniu 2023 roku (Della Porta 2024) nie obserwowano różnic pomiędzy analizowanymi grupami, 3,9% vs 4,4%, RR = 0,87 (95% CI: 0,32; 2,35).

Przeżycie całkowite

W ramach analizy opisanej w opracowaniu EPAR 2024, w grupie pacjentów otrzymujących luspatercept mediana przeżycia nie została osiągnięta (95% CI: 35,3; NO), natomiast w grupie epoetyny wyniosła 42,8 (95% CI: 42,8; NO) miesięcy – nie odnotowano istotnych różnic pomiędzy ocenianymi grupami: HR = 1,089 (95% CI: 0,686; 1,728). Głównym celem stosowanego leczenia jest stymulacja erytropoezy związanej z niedokrwistością w przebiegu MDS, a nie leczenie przyczynowe choroby podstawowej.

Ocena jakości życia

Jakość życia raportowano bardziej szczegółowo w ramach analizy opisanej w dokumencie EPAR 2024. Ogółem, w obu badanych ramionach obserwowano niewielką poprawę (wzrost) wyniku ogólnego wskaźnika zdrowia kwestionariusza QLQ-C30 w ciągu 49 tygodni leczenia, ale w żadnym z ramion nie odnotowano klinicznie istotnej poprawy – po 49 tygodniach, średnia zmiana wyniosła 3,1 punktów w grupie LUS oraz 1,1 punktów w grupie EPO.

Badanie retrospektywne Mukherjee 2024 (RWD)

W trakcie pierwszych 24 tygodni terapii luspaterceptem, prawie wszyscy (96,9%, n=31) wśród 32 pacjentów nieleczonych wcześniej ESA i wyjściowo zależnych od przetoczeń, osiągnęli niezależność od przetoczeń utrzymującą się przez

≥ 8 tygodni, a u 93,8% chorych (n=30) taki stan utrzymywał się przez ≥ 12 tygodni. Osiągnięcie odpowiedzi czerwonokrwinkowej (według zmodyfikowanej definicji, mHI-E) analizowano wyłącznie wśród pacjentów nieleczonych wcześniej ESA, którzy wyjściowo byli zależni od przetoczeń i otrzymywali leczenie luspaterceptem przez ≥ 24 tygodnie. W ocenianym okresie, wśród 6 pacjentów uwzględnionych w analizie u 5 osób (83,3%) odnotowano osiągnięcie odpowiedzi na leczenie zgodnej z przyjętą definicją.

Badanie PACE-MDS

Jedynie wynik dla oceny odpowiedzi czerwonokrwinkowej raportowano w obrębie podgrup wyróżnionych ze względu na obciążenie przetoczeniami – ogółem, w całej populacji RS- odnotowano odpowiedź HI-E u 16/44 (36,4%) chorych, w tym u 3/13 (23,1%) z LTB oraz 6/16 (37,5%) z HTB. W przypadku pozostałych ocenianych punktów końcowych prezentowany wynik dotyczył całej populacji RS-, w której obecni byli zarówno pacjenci nie otrzymujący wcześniej leczenia ESA, jak i pacjenci niewymagający stosowania przetoczeń. Wśród tych chorych, czas do pierwszej odpowiedzi HI-E wynosił średnio 76 (SD: 80,1) dni, natomiast czas trwania najdłuższego okresu z odpowiedzią wynosił (mediana) 150 (zakres: 62-316) dni. Wśród chorych z RS- wymagających wyjściowo przetoczeń, niezależność od przetoczeń (RBC-TI) utrzymującą się przynajmniej 8 tygodni uzyskało 10/29 (34,5%) pacjentów; czas do pierwszego zdarzenia tego typu wynosił średnio 7 (SD: 13,7) dni, natomiast mediana czasu trwania takiej niezależności wynosiła 187 (zakres: 70-956) dni.

Porównanie pośrednie

Ze względu na brak badań bezpośrednio porównujących luspatercept i darbepoetynę, przeprowadzono przegląd systematyczny w celu wykonania porównania pośredniego. Jedynym badaniem bezpośrednim dla luspaterceptu było COMMANDS (vs. epoetyna), natomiast dla darbepoetyny uwzględniono ARCADE (vs. placebo) oraz EPOANE3021 (epoetyna vs. placebo). Przegląd Park 2019 wykazał duże różnice między badaniami ESA, co uniemożliwiło metaanalizę sieciową. Pośrednie porównanie luspaterceptu i darbepoetyny nie wykazało istotnych statystycznie różnic (RB=0,29; 95% CI: 0,07;1,18), lecz heterogeniczność badań ogranicza pewność wniosków. W COMMANDS 52,4% pacjentów na luspaterceptcie uzyskało niezależność od transfuzji w ciągu 6 miesięcy, wobec 75,2% przyjmujących epoetynę.

Analiza bezpieczeństwa

Badanie COMMANDS W większości raportowanych kategorii zdarzeń niepożądanych, nie obserwowano istotnych statystycznie różnic pomiędzy luspaterceptem a epoetyną alfa, jednak ryzyko ogólnie wystąpienia jakichkolwiek TEAEs było istotnie większe w przypadku luspaterceptu (92,1% vs 85,2%), choć wynik zbliżał się do granicy istotności: RR = 1,08 (95% CI:

1,00; 1,17), NNH = 15 (95% CI: 8; 294). Podobnie, istotnie częściej w grupie luspaterceptu obserwowano TEAEs uznane za prawdopodobnie związane z leczeniem: RR = 1,72 (95% CI: 1,17; 2,54), NNH = 8 (95% CI: 5; 26). Istotnie częściej po stronie luspaterceptu obserwowano również TEAEs w 3 lub 4 stopniu nasilenia, a także zdarzenia w 3 lub 4 stopniu nasilenia uznane za związane z leczeniem. Zdarzenia zgonu odnotowano z podobną częstością w obu grupach (około 18%) i nie stwierdzono istotnych statystycznie różnic pomiędzy analizowanymi grupami w częstości zgonu pacjentów, niezależnie od przyczyny czy czasu ich wystąpienia (okres leczenia vs okres bez leczenia).

W większości obserwowanych poszczególnych zdarzeń niepożądanych, nie obserwowano istotnych statystycznie różnic w ryzyku ich wystąpienia pomiędzy analizowanymi grupami – w szczególności, nie odnotowano istotnych statystycznie różnic dla zdarzeń niepożądanych o stopniu nasilenia 3 lub 4. Wyjątek stanowiło zmęczenie (bez względu na stopień nasilenia), występujące istotnie częściej u chorych otrzymujących luspatercept: 14,6% vs 6,8%, RR = 2,14 (95% CI: 1,12; 4,11), NNH = 13 (95% CI: 8; 72). Zdarzenia niepożądane o szczególnym znaczeniu obserwowano z podobną częstością w obu analizowanych grupach w większości rozpatrywanych przypadków. Ogółem, ryzyko pojawienia się przynajmniej jednego zdarzenia niepożądanego o szczególnym znaczeniu było znamienne wyższe u osób poddanych leczeniu luspaterceptem – 51,7% vs 38,1%, RR = 1,36 (95% CI: 1,07; 1,72), NNH = 8 (95% CI: 5; 30). Spośród poszczególnych zdarzeń niepożądanych o szczególnej istotności, jedynie nadciśnienie tętnicze występowało istotnie częściej u chorych stosujących luspatercept: 14,0% vs 7,4%, RR = 1,90 (95% CI: 1,01; 3,60), NNH = 16 (95% CI: 8; 390).

Rekomendacje towarzystw naukowych

Wszystkie odnalezione wytyczne kliniczne uwzględniają luspatercept w leczeniu chorych na MDS z grupy niższego ryzyka. Jednak jedynie najnowsze zalecenia (NCCN 2025) dopuszczają jego zastosowanie już w I linii leczenia.

Zgodnie z wytycznymi NCCN 2025, wybór leczenia I linii zależy od obecności del(5q) i innych nieprawidłowości cytogenetycznych.

- Przy del(5q) ± 1 dodatkowej nieprawidłowości cytogenetycznej (z wyjątkiem aberracji chromosomu 7):
 - IPSS niski/pośredni-1, EPO ≤500 mU/ml – preferowany lenalidomid, alternatywnie ESA.
 - EPO >500 mU/ml – zalecany wyłącznie lenalidomid.
- Bez del(5q) ± innych nieprawidłowości cytogenetycznych:
 - RS ≥15% (lub RS ≥5% z mutacją SF3B1) – preferowany luspatercept.
 - RS <15% (lub RS <5% z mutacją SF3B1), EPO ≤500 mU/ml – preferowane ESA, luspatercept jako alternatywa.

- RS <15% (lub RS <5% z mutacją SF3B1), EPO >500 mU/ml – leczenie zależy od przewidywanej odpowiedzi na terapię immunosupresyjną:

- przy wysokim prawdopodobieństwie – ATG z cyklosporyną A z/bez eltrombopagu,
- przy niższym – udział w badaniach klinicznych, azacytydyna, decytabina (w tym doustna z cedazurydyną) lub lenalidomid

Problem ekonomiczny

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy stosowanie luspaterceptu w miejsce:

- epoetyny alfa – jest droższe i skuteczniejsze. Oszacowany ICUR w wariancie bez RSS wyniósł 944 992 zł/QALY. W wariancie z RSS ICUR wyniósł [REDACTED] zł/QALY.

- darbapoetyny alfa – jest droższe i skuteczniejsze. Oszacowany ICUR w wariancie bez RSS wyniósł 1 001 307 zł/QALY. W wariancie z RSS ICUR wyniósł [REDACTED] zł/QALY.

Powyższe oszacowania efektywności kosztowej obliczono przyjmując tożsamą efektywność kliniczną epoetyny alfa oraz darbapoetyny alfa, co nie zostało podparte dowodami naukowymi.

Ceny zbytu netto leku, przy której koszt uzyskania dodatkowego roku życia skorygowanego o jakość lub dodatkowego roku życia, jest równy wysokości progu wynosi:

- 1 fiol a 25 mg
 - w porównaniu z epoetyną alfa - [REDACTED] zł;
 - w porównaniu z darbapoetyną alfa - [REDACTED] zł
- 1 fiol a 75 mg
 - w porównaniu z epoetyną alfa - [REDACTED] zł
 - w porównaniu z darbapoetyną alfa – [REDACTED] zł.

Wpływ na budżet płatnika publicznego

Refundacja wnioskowanej interwencji wiązać będzie się ze wzrostem wydatków płatnika publicznego o odpowiednio:

- w wariancie bez RSS: 34,890 mln zł (od 23,345 mln zł do 38,850 mln zł) w pierwszym oraz 95,115 mln zł (od 50,069 mln zł do 115,317 mln zł) w drugim roku refundacji;
- w wariancie z RSS: [REDACTED] w pierwszym oraz [REDACTED] w drugim roku refundacji.

Główne argumenty decyzji

- *Potwierdzona w jednym badaniu RCT skuteczność w zakresie poprawy parametrów czerwonych i uniezależnienia od przetoczeń krwi we wnioskowanej populacji pacjentów;*
- *Rekomendacja NCCN 2025 co do stosowania produktu również w pierwszej linii leczenia;*
- *Brak bezpośredniego porównania skuteczności z drugim komparatorem – darbopoetyną;*
- *Niepotwierdzony wpływ leku na odległe przeżycie pacjentów (niewystarczająco długi okres obserwacji);*
- *Brak efektywności kosztowej.*

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 930 z późn. zm.), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OT.423.1.79.2024 „Wniosek o objęcie refundacją leku Reblozyl (luspatercept) w ramach istniejącego programu lekowego B.142. »Leczenie dorosłych pacjentów z zespołami mielodysplastycznymi z towarzyszącą niedokrwistością zależną od transfuzji (ICD-10: D46.0, D46.1)«”, data ukończenia: 12.03.2025 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinie przedstawicieli pacjentów i eksperta przedstawione w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy Bristol-Myers Squibb Polska.

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem (Bristol-Myers Squibb Polska) o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

Podstawa prawna wyłączenia jawności: art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2022 r., poz.902) w zw. z art. 11 ust. 2 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2022 r., poz. 1233), art. 35 ust. 4a - 4b ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. 2024 r., poz. 930 z późn. zm.) i art. 35a ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. 2024 r., poz. 930 z późn. zm.).

Organ dokonujący wyłączenia jawności: Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji.

Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Bristol-Myers Squibb Polska



**Opinia Rady Przejrzystości
nr 49/2025 z dnia 24 marca 2025 roku
o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej w zakresie
wczesnego wykrywania wad wzroku u dzieci 7 letnich
zamieszkujących na terenie miasta Sieradz”**

Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej w zakresie wczesnego wykrywania wad wzroku u dzieci 7 letnich zamieszkujących na terenie miasta Sieradz”.

Uzasadnienie

Program zakłada realizację badań przesiewowych w kierunku wad wzroku u dzieci 7-letnich zamieszkujących na terenie miasta Sieradz.

Należy podkreślić, że badania przesiewowe w kierunku wad wzroku znajdują się w wykazie świadczeń gwarantowanych z zakresu podstawowej opieki zdrowotnej, realizowanych przez lekarzy i pielęgniarki POZ oraz pielęgniarki/higienistki szkolne.

Lekarz POZ wykonuje badania przesiewowe w kierunku wad wzroku u dzieci:

- *w wieku 2 lat – test Hirschberga w kierunku wykrywania zez,*
- *w ramach rocznego obowiązkowego przygotowania przedszkolnego (lub w klasie I szkoły podstawowej) – wykrywanie zez (Cover test, test Hirschberga) oraz wykrywanie zaburzeń ostrości wzroku),*
- *w III klasie szkoły podstawowej – wykrywanie zaburzeń ostrości wzroku i widzenia barw,*
- *w I klasie gimnazjum (obecnie VII klasa szkoły podstawowej) – wykrywanie zaburzeń ostrości wzroku,*
- *w I klasie szkoły ponadgimnazjalnej – wykrywanie zaburzeń ostrości wzroku.*

Pielęgniarka POZ wykonuje:

- *orientacyjne badanie wzroku u dzieci w wieku: 0-6 m.ż., 9 m.ż., 1 r.ż., 4 r.ż. oraz 5 r.ż.,*
- *w wieku 2 lat przeprowadza test Hirschberga w kierunku wykrywania zez.*

Pielęgniarka lub higienistka szkolna wykonuje następujące badania przesiewowe w kierunku wad wzroku:

- w ramach rocznego obowiązkowego przygotowania przedszkolnego (lub w klasie I szkoły podstawowej) – test do wykrywania zaburzeń w kierunku zezu (Cover test, test Hirschberga), bada ostrości wzroku,
- w III i V klasie szkoły podstawowej – test do wykrywania zaburzeń ostrości wzroku i widzenia barw,
- w I klasie gimnazjum (obecnie VII klasa szkoły podstawowej) – test do wykrywania zaburzeń ostrości wzroku,
- w I klasie szkoły ponadgimnazjalnej – test do wykrywania zaburzeń ostrości wzroku,
- w ostatniej klasie szkoły ponadgimnazjalnej do ukończenia 19 r.ż. – test do wykrywania zaburzeń ostrości wzroku.

Ponadto, porada okulistyczna dla dzieci, w ramach której mogą być wykonane inne testy przesiewowe, znajduje się w wykazie świadczeń gwarantowanych z zakresu AOS.

Wobec powyższych informacji, należałoby uzasadnić, dlaczego wybrano populację dzieci w wieku 7 lat.

Szczegółowe uwagi odnośnie poszczególnych elementów programu:

Cel główny – nie odniesiono się do danych sprzed wprowadzenia PPZ – wskazujących na skalę problemu i szacunkową liczebność dzieci z podejrzeniem wad wzroku, umożliwiających ocenę stopnia realizacji celu po zakończeniu programu. Nie wskazano uzasadnienia dla podanej wartości docelowej. Cel główny wymaga korekty w zakresie określonej w nim populacji docelowej.

Cele szczegółowe – cele szczegółowe nr 2 i 3 – w projekcie nie wskazano, czy wnioskodawca zamierza w jakikolwiek sposób weryfikować dalszą ścieżkę uczestników, którzy na podstawie badań przesiewowych zostaną skierowani do dalszej diagnostyki/leczenia w ramach NFZ. Nie wskazano uzasadnienia wartości docelowych. Cele szczegółowe wymagają korekty w zakresie populacji docelowej, gdyż program nie zakłada realizacji interwencji w populacji młodzieży, a jedynie w grupie dzieci 7-letnich i ich rodziców/opiekunów prawnych.

Mierniki efektywności odpowiadające celom PPZ – wskaźniki 3, 4, 5 oraz 6 nie odnoszą się bezpośrednio do celów programu, natomiast mogą zostać wykorzystane w ramach ewaluacji PPZ. Nie zaproponowano odpowiedniego miernika dla celu szczegółowego nr 3.

Populacja docelowa – z treści projektu nie wynika, na jakiej podstawie wnioskodawca przyjął założenia w zakresie liczebności populacji docelowej. Nie określono liczebności populacji dzieci, która zostanie objęta działaniami edukacyjnymi. Zaplanowana populacja (dzieci w wieku 7 lat) jedynie częściowo znajduje odzwierciedlenie w rekomendacjach.

Planowane interwencje:

Działania organizacyjne: nie określono kompetencji osoby odpowiedzialnej za rekrutację do programu; nie odniesiono się do rodzajów środków przekazu, jakie zostaną wykorzystane w ramach działań informacyjnych.

Działania edukacyjne dla rodziców/opiekunów: nie dołączono wzorów pre- i post testów do oceny poziomu wiedzy.

Wstępna ocena stanu zdrowia dziecka: nie dołączono wzoru kwestionariusza służącego do przeprowadzenia wywiadu z rodzicami/opiekunami; nie przedstawiono „kryteriów włączenia do badania”, ani też nie określono zakresu „badań wstępnych”; kwestia zgód rodziców nie jest do końca jasna (nie wiadomo czy będą to dwie zgody czy tylko jedna).

Monitorowanie – przedstawiono jedynie otwarty katalog wskaźników, spośród których zostaną dopiero wybrane te, które ostatecznie zastosuje realizator; część wskaźników jedynie nieznacznie się od siebie różni; część wskaźników monitorowania zgłaszalności budzi zastrzeżenia (jeden odnosi się bardziej do monitorowania zgłaszalności, jeden do ewaluacji, a jeden został sformułowany nieprawidłowo); nie zaplanowano oceny liczby rodziców i dzieci uczestniczących w działaniach edukacyjnych.

Ewaluacja – nie przedstawiono ostatecznej listy wskaźników ewaluacji, a jedynie pulę, z której będzie mógł skorzystać realizator; jeden z przedstawionych wskaźników jest niezrozumiały, a część nie pozwoli na określenie skuteczności zaplanowanych w programie interwencji; nie uwzględniono porównania stanu sprzed wprowadzenia działań w ramach programu, ze stanem po jego zakończeniu.

Koszty jednostkowe – nie uwzględniono kosztów działań edukacyjnych skierowanych do populacji dzieci.

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 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem raportu nr: OT.431.12.2025 „Program polityki zdrowotnej w zakresie wczesnego wykrywania wad wzroku u dzieci 7 letnich zamieszkujących na terenie miasta Sieradza” realizowany przez: Miasto Sieradz, Warszawa, marzec 2025 oraz Aneksu „Programy z zakresu profilaktyki i korekcji wad wzroku oraz chorób oczu u dzieci – wspólne podstawy oceny” z czerwca 2022 r.



**Opinia Rady Przejrzystości
nr 50/2025 z dnia 24 marca 2025 roku
o projekcie programu „Program profilaktyki zaburzeń depresyjnych
wśród nastolatków i młodych dorosłych na terenie Gminy Radwanice
na lata 2025-2027”**

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki zaburzeń depresyjnych wśród nastolatków i młodych dorosłych na terenie Gminy Radwanice na lata 2025-2027”, pod warunkiem uwzględniania uwag Rady.

Uzasadnienie

Oceniany projekt PPZ odnosi się do istotnego problemu zdrowotnego jakim są zaburzenia depresyjne występujące w populacji dzieci i młodzieży.

W ramach programu planowane jest przeprowadzenie działań informacyjno-edukacyjnych skierowanych do populacji ogólnej, szkoleń z zakresu zaburzeń depresyjnych dla wychowawców, pedagogów i psychologów szkolnych, działań edukacyjnych skierowanych do nastolatków między 10 a 15 r.ż. (roczniki 2010-2017) zameldowanych na terenie gminy Radwanice i uczęszczających do klas IV-VIII publicznych szkół podstawowych zlokalizowanych na terenie gminy oraz ich rodziców/opiekunów prawnych, a także badań przesiewowych w kierunku zaburzeń depresyjnych i terapii zaburzeń nastroju u zakwalifikowanych dzieci i nastolatków.

Liczebność populacji docelowej dzieci i młodzieży oszacowano na ok. 530 osób, czyli 100% populacji dzieci i młodzieży z roczników 2010-2017.

Zgodnie z informacjami przedstawionymi w PPZ, działania z zakresu terapii zaburzeń nastroju przewidziano dla ok. 85 nastolatków, co wynika z ograniczonych możliwości finansowych wnioskodawcy.

W odniesieniu do pozostałych populacji docelowych oszacowano, że działaniami edukacyjnymi objętych zostanie ok. 530 rodziców/opiekunów prawnych, natomiast szkoleniami – ok. 25 osób (w tym ok. 23 nauczycieli – wychowawców klas szkół podstawowych w roku szkolnym 2025/2026 oraz psychologowie i/lub pedagodzy z 2 publicznych szkół podstawowych na terenie gminy).

Okres realizacji programu został wyznaczony na lata 2025-2027.

Oprócz kampanii informacyjnej mającej na celu rozpowszechnienie informacji o PPZ, zaplanowano również realizację kampanii informacyjno-edukacyjnej, w celu podniesienia poziomu wiedzy populacji ogólnej na temat czynników ryzyka, przebiegu oraz diagnostyki i profilaktyki zaburzeń nastroju w populacji dzieci/młodzieży i młodych dorosłych.

Zgodnie z treścią projektu, działania szkoleniowe dla wychowawców, pedagogów i psychologów szkolnych obejmować będą zagadnienia dotyczące: czynników ryzyka występowania zaburzeń depresyjnych, specyfiki zaburzeń depresyjnych i lękowych, stresu w szkole wśród dzieci i młodzieży, następstw zdrowotnych wynikających z zaburzeń nastroju, skuteczności działań zapobiegawczych, a także konsekwencji bagatelizowania objawów oraz zaniedbań diagnostycznych. Wnioskodawca wskazał, że szkolenie przeprowadzone zostanie w pierwszym roku realizacji programu w formie online, z założeniem jego nagrania (w celu późniejszego wykorzystania w szerszej grupie odbiorców).

Działania z zakresu edukacji zdrowotnej rodziców/opiekunów prawnych uczniów obejmować będą 90-minutowy wykład online prowadzony przez psychologa lub innego specjalistę ochrony zdrowia zajmującego się profilaktyką i wczesnym wykrywaniem depresji. Wykład zostanie udostępniony rodzicom za pośrednictwem aktywnych linków przesyłanych poprzez szkolne dzienniki elektroniczne aktywnego linku.

Edukacja zdrowotna (psychoedukacja) nastolatków przeprowadzona ma zostać przez uprzednio przeszkolonych w ramach programu wychowawców, pedagogów i psychologów szkolnych (lub przez innych nauczycieli, którym umożliwiono odtworzenie nagrania przeprowadzonego szkolenia, a także przekazano wzór prezentacji multimedialnej możliwej do wykorzystania w ramach edukacji zdrowotnej dzieci), minimum raz w roku w każdej klasie szkoły podstawowej w ramach lekcji wychowawczych.

Zgodnie z treścią projektu, badania przesiewowe w kierunku zaburzeń depresyjnych dla dzieci i młodzieży (10-15 r.ż.), przeprowadzane będą przez psychologów lub pedagogów szkolnych. Podkreślono, że działania te obejmą badanie z użyciem kwestionariusza samooceny umożliwiającego ocenę profilu i nasilenia objawów depresyjnych, np. kwestionariusza CDI 2 (Children Depression Inventory), przy czym o rodzaju testu przesiewowego zdecyduje realizator.

Uczestnicy, którzy w badaniach przesiewowych uzyskają wynik wskazujący na obecność zaburzeń depresyjnych, zostaną włączeni do interwencji terapeutycznej, obejmującej cykl 12 cotygodniowych, co najmniej 60-minutowych spotkań z psychoterapeutą dzieci i młodzieży. Zgodnie z treścią projektu, w ramach programu możliwe będzie przeprowadzenie następujących terapii: indywidualna terapia behawioralno-poznawcza (CBT), psychoterapia

indywidualna (IPT-A), terapia rodzinna oparta na więzi (ABFT), terapia interpersonalna, psychoterapia psychodynamiczna, terapia dialektyczno-behawioralna oraz poznawcza, psychoterapia psychoanalityczna, psychoterapia systemowa, terapia humanistyczno-doświadczeniowa lub psychoterapia integracyjna.

Wnioskodawca wskazał również, że w ramach terapii zaburzeń nastroju przeprowadzona zostanie „wizyta początkowa” oraz „wizyta końcowa”.

Oceniany projekt programu zawiera interwencje, które częściowo powielają świadczenia dostępne w ramach świadczeń gwarantowanych z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej oraz z zakresu opieki psychiatrycznej i leczenia uzależnień. Przy czym podkreślenia wymaga okoliczność, że aktualnie na terenie Radwanic żaden podmiot nie posiada umowy na realizację świadczeń psychiatrycznych w warunkach stacjonarnych, dziennych lub ambulatoryjnych, bądź w ramach poziomów referencyjnych. Na terenie powiatu polkowickiego funkcjonuje 1 podmiot posiadający umowę na realizację produktu kontraktowanego: ośrodek środowiskowej opieki psychologicznej i psychoterapeutycznej dla dzieci i młodzieży (I poziom referencyjny).

Należy podkreślić, że opiniowany projekt jest zbieżny z celem Narodowego Programu Zdrowia (NPZ) na lata 2021-2025: „promocja zdrowia psychicznego”, a także odnosi się do Narodowego Programu Ochrony Zdrowia Psychicznego na lata 2023-2030.

Koszt całkowity programu oszacowany został na 212 300 zł.

Uwagi Rady:

- Doprecyzowanie opisu etapów realizacji programu oraz załączenie pre- i post-testów.*
- Doprecyzowanie kwestii realizacji badań przesiewowych – opisano je w dwóch miejscach projektu (jako osobną interwencję i w opisie sesji terapeutycznych w ramach wizyty początkowej).*
- Wskazanie czasu trwania szkolenia dla kadry pedagogicznej.*

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 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem raportu nr: OT.431.8.2025 „Program profilaktyki zaburzeń depresyjnych wśród nastolatków i młodych dorosłych na terenie Gminy Radwanice na lata 2025-2027” realizowany przez: Gminę Radwanice, Warszawa, marzec 2025 oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy zdrowotne z zakresu zdrowia psychicznego – wspólne podstawy oceny”, luty 2015 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 51/2025 z dnia 24 marca 2025 roku
o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej w zakresie
profilaktyki nadwagi i otyłości wśród uczniów klas IV szkół
podstawowych w Mieście Suwałki na lata 2025-2028”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej w zakresie profilaktyki nadwagi i otyłości wśród uczniów klas IV szkół podstawowych w Mieście Suwałki na lata 2025-2028”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest PPZ zaplanowany do realizacji przez Miasto Suwałki. Populację docelową stanowić będą:

- uczniowie klas IV szkół podstawowych w Suwałkach (około 2 645 uczniów w zakresie edukacji zdrowotnej oraz około 2 116 uczniów w zakresie badań przesiewowych, pomiarów antropometrycznych oraz oceny BMI),*
- uczniowie z problemem nadwagi i otyłości (około 381 uczniów) w zakresie interwencji wieloskładnikowej,*
- rodzice dzieci (ok. 1 323 rodziców), wychowawcy klas IV szkół podstawowych (ok. 33 nauczycieli) oraz pracownicy stołówek szkolnych, w tym kierownicy, kucharze, intendenci, pomoc kuchenna (ok. 38 osób) w zakresie działań edukacyjnych.*

Program będzie realizowany w latach 2025-2028.

Budżet programu – 543 149 zł, w tym:

- ok. 56 279 zł w 2025 r.,*
- ok. 174 819 zł w 2026 r.,*
- ok. 184 588 zł w 2027 r.,*
- ok. 127 463 zł w 2028 r.*

Program będzie w całości finansowany z budżetu Miasta Suwałki. W ramach programu zaplanowano przeprowadzenie badań przesiewowych i interwencji terapeutycznej obejmującej konsultacje dietetyczne, konsultacje psychologiczne, zajęcia ruchowe, warsztaty dietetyczne. Przewidziano również

działania informacyjno – edukacyjne dla uczniów, rodziców, opiekunów prawnych, wychowawców oraz pracowników stołówek szkolnych.

Celem głównym jest zmniejszenie częstości występowania nadwagi i otyłości (średnio o 3 centyle BMI w porównaniu z wynikami pomiarów antropometrycznych wykonanych na rozpoczęcie realizacji programu) wśród ok. 30% uczniów klasy IV szkół podstawowych, biorących udział w wieloelementowej interwencji. Cel został prawidłowo sformułowany i znajduje odzwierciedlenie w obowiązujących rekomendacjach.

Wskazano też 3 cele szczegółowe:

- zwiększenie poziomu wiedzy na temat zdrowego odżywiania oraz konsekwencji nadwagi i otyłości u co najmniej 30% uczniów, ich rodziców/wychowawców z Miasta Suwałki, uczestniczących w programie, w latach 2025-2028,
- zwiększenie poziom wiedzy na temat zdrowego odżywiania u co najmniej 30% pracowników kuchni i stołówek szkolnych uczestniczących w programie, w latach 2025-2028,
- zwiększenie o co najmniej 30% aktywności fizycznej wśród uczniów klas IV szkół podstawowych oraz rodziców którzy wzięli udział w programie, w latach 2025-2028 jako rezultat zajęć z działań terapeutycznych.

Cele szczegółowe są możliwe do osiągnięcia w ramach zaplanowanych działań edukacyjnych oraz terapeutycznych. W projekcie zaplanowano też 3 mierniki efektywności, które odnoszą się do celów szczegółowych. Nie wykazano miernika efektywności odpowiadającego celowi głównemu.

Rekomendacje kliniczne potwierdzają potrzebę działań profilaktycznych nacelowanych na otyłość w populacji pediatrycznej <18 r. życia. Podkreśla się, że BMI zostało uznane za stosunkowo prosty i dobry test diagnostyczny. Zaleca się promowanie zdrowego stylu życia oraz wypracowanie odpowiednich nawyków żywieniowych. Ważną rolę odgrywają działania edukacyjne nie tylko wśród dzieci, ale też rodziców i wychowawców. Działania związane z poprawą diety, wzrostem poziomu aktywności fizycznej powinny dotyczyć wszystkich uczestników programu. Opinie ekspertów klinicznych potwierdzają zasadność interwencji związanej z profilaktyką i zwracają uwagę na to, że interwencja powinna trwać minimum rok, być różnorodna oraz nakierowana nie tylko na dzieci, ale i środowisko.

Argumentem przeciw wprowadzaniu i finansowaniu przez samorządy PPZ w zakresie nadwagi i otyłości jest stosunkowo niska skuteczność długoterminowa takich programów, m. in. przez negatywną motywację niektórych uczestników, skoro jest „za darmo”.

Oceniany program zawiera interwencje, które częściowo powielają świadczenia dostępne w ramach świadczeń gwarantowanych.

Uwagi Rady:

- *w celu głównym i szczegółowych nie wskazano uzasadnienia do przyjęcia wartości docelowych,*
- *nie został oszacowany czas trwania warsztatów dietetycznych,*
- *niewielka liczba prawidłowo sformułowanych mierników ewaluacji nie pozwala na przeprowadzenie kompleksowej oceny efektywności.*

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 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem raportu nr: OT.431.9.2025 „Program polityki zdrowotnej w zakresie profilaktyki nadwagi i otyłości wśród uczniów klas IV szkół podstawowych w Mieście Suwałki na lata 2025-2028” realizowany przez: Miasto Suwałki, Warszawa, marzec 2025 oraz Raportu nr OT.423.2.2018 „Profilaktyka nadwagi oraz otyłości wśród dzieci i młodzieży w ramach programów polityki zdrowotnej” z kwietnia 2019 r. i materiału uzupełniającego do Raportu nr OT.434.7.2024 „Profilaktyka nadwagi oraz otyłości wśród dzieci i młodzieży” ze stycznia 2025 r.