

Tabela uwzględnionych wytycznych z opinii Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr 90/2018 z dnia 6 czerwca 2018 r. o projekcie programu polityki zdrowotnej pn. „Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne”

Tekst opinii	Odpowiedź na tekst	Sposób uwzględnienia
<p>Populacja docelowa programu została określona poprawnie w odniesieniu do przedmiotowego problemu zdrowotnego. Niemniej jednak, z uwagi na brak spójności w danych liczbowych dotyczących chorych na hemofilię, przedstawionych na podstawie dostępnych źródeł, należy zweryfikować rozbieżności dotyczące oszacowań liczebności populacji programu.</p>	<p>Wprowadzono wyjaśnienie w Programie s 10.</p> <p>W programie odniesiono się do map potrzeb zdrowotnych, sytuacji na świecie oraz danych sprawozdawczych NCK i Instytutu Matki i Dziecka. Jednak w opinii członków Zespołu docelowa liczba 6000 pacjentów, którzy zostaną objęci opieką ośrodków wydaje się najbardziej prawdopodobna.</p> <p>Wyjaśnienia przyjęte przez przedstawicieli AOTMiT</p>	<p>uwzględniono</p>
<p>Zastrzeżenia Agencji budzi natomiast interwencja odnosząca się do zaopatrzenia w produkty lecznicze do leczenia hemofilii i innych skaz krwotocznych, w szczególności wdrażania nowo rejestrowanych leków oraz emicizumabu i rekombinowanego wieprzowego czynnika VIII. Wskazany zapis programu daje możliwość na finansowanie nowo zarejestrowanych produktów, bez wcześniejszej oceny HTA. Budzi to wątpliwości zarówno w</p>	<p>Wprowadzono następujące zabezpieczenia:</p> <ol style="list-style-type: none"> 1. wskazanie do podania produktu leczniczego zaakceptowane przez ministra właściwego do spraw zdrowia, <u>po uprzedniej opinii AOTMiT</u> s. 32 2. wprowadzenie nowych leków będzie odbywało się poprzez zmniejszenie wolumenu produktów leczniczych 	<p>uwzględniono</p>

zakresie właściwego wydatkowania finansów publicznych, jak również w zakresie bezpieczeństwa samych pacjentów.

Biorąc pod uwagę powyższe, w opinii Prezesa, zgodnie z opinią Rady Przejrzystości, nowo wprowadzane leki i preparaty stosowane do leczenia hemofilii i innych skaz krwotocznych powinny podlegać ocenie HTA, celem oceny ich skuteczności klinicznej, bezpieczeństwa oraz efektywności kosztowej.

dotychczas stosowanych. Rozwiązanie to pozwala na wprowadzenie konkurencyjności pomiędzy produktami leczniczymi dotychczas stosowanymi a nowymi. (...) Warunkiem modyfikacji Programu będzie wykazanie efektywności medycznej lub kosztowej w ramach możliwości budżetu Programu, przy stosowaniu nowo zarejestrowanych terapii wobec dotychczas dostępnych w Programie koncentratów czynników krzepnięcia i desmopresyny. *Efektywność medyczna lub kosztowa w tym zakresie będzie przedmiotem opinii AOTMiT, s. 36* Skorygowano kryteria włączenia Spełnianie łącznie trzech kryteriów, s. 32:

- a. zgłoszenie pacjentów do Rady Programu,
 - b. wykazanie efektywności medycznej lub kosztowej, w ramach możliwości budżetu Programu
 - c. opinia AOTMiT odnośnie wskazania, s 31
3. pod tabelą 14 wprowadzono przypis o treści: „ W przypadku stosowania modułu IV z tabeli 11, dopuszcza się zmniejszenie ilości produktów leczniczych wskazanych pierwotnie w tabeli 14 w brzmieniu z dnia ogłoszenia programu, natomiast nie

dopuszcza się korekty łącznej wysokości środków na zaopatrzenie w produkty lecznicze do leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych, którą wskazano w ostatnim wierszu tabeli 14.” , s. 48

Zgodnie z wyjaśnieniami AOTMiT, Agencja chce mieć możliwość wydania opinii odnośnie nowego leku.

<p>Należy zaznaczyć, że cel główny w aktualnym brzmieniu nie jest w pełni zgodny z zasadą SMART, według której cel powinien być: sprecyzowany, mierzalny, osiągalny, istotny i zaplanowany w czasie. Ponadto ww. założenia nie stanowią oczekiwanych efektów, lecz działania, co jest niezgodne z definicją celu. Warto pamiętać, że cel główny powinien być wyraźnie zdefiniowany i precyzyjnie wytyczony (w odniesieniu do planowanego czasu), a jego osiągnięcie powinno stanowić potwierdzenie skuteczności zaplanowanych działań.</p>	<p>Przedstawiciele AOTMiT wyjaśnili, że koncepcja SMART nie jest ujęta w normach prawnych, gdyż niejednokrotnie zastosować tej zasady się nie da. SMART występuje w wytycznych, jako zalecany sposób tworzenia celu i w opinii wskazano, że cele „powinno się przeformułować”, a nie, że „należy”. Zgodnie z wyjaśnieniami AOTMiT, w miejscu gdzie się tego nie dostosować celów do koncepcji SMART, nie wymaga się aby cel był tak rozpisany.</p> <p>Jednocześnie AOTMiT wyjaśniła, że brak jest uzasadnienia rozpisywania tak wielu celów. W związku z tym w programie usunięto cel „Zapewnienie odpowiednich warunków dla postępowania z chorymi na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne przez Państwowe Ratownictwo Medyczne”, pozostawiając tematykę ratownictwa medycznego w innych miejscach.</p> <p>s. 26</p>	<p>uwzględniono</p>
<p>Powyższe założenia podobnie, jak cel główny programu, zostały przedstawione w formie działań. Reasumując, cele programowe wskazane w projekcie nie są w pełni zgodne z koncepcją SMART i wymagają przeformułowania zgodnie z powyższymi uwagami.</p>	<p>Odpowiednio zorganizowane działania są celem, gdyż chorzy na nieuleczalną chorobę muszą z efektów tych działań korzystać.</p> <p>Wyjaśnienia, jak wyżej.</p>	<p>Wyjaśniono w niniejszej tabeli</p>
<p>Warto także zastanowić się nad wprowadzeniem monitorowania u pacjentów zużycia czynników krzepnięcia, analogicznie jak w programach obecnie</p>	<p>Zgodnie z wyjaśnieniami AOTMiT, Agencja nie miała wiedzy na temat obecnie stosowanych narzędzi monitorowania zużycia.</p>	<p>uwzględniono</p>

istniejących.

Zgodnie z zaleceniami przedstawicieli AOTMiT, w programie opisano te mechanizmy.

Wprowadzono zapis:

6. Utrzymywanie i rozbudowa internetowego systemu zleceń na koncentraty czynników krzepnięcia i desmopresynę działającego w ramach aplikacji komputerowej, która gromadzi i udostępnia dane upoważnionym osobom i podmiotom, w czasie rzeczywistym za pośrednictwem aplikacji komputerowej udostępnionej przez Narodowy Fundusz Zdrowia.

- a. W ramach aplikacji lekarz ma możliwość wystawienia zamówienia indywidualnego na produkty krwiopochodne, rekombinowane koncentraty czynników krzepnięcia oraz desmopresynę, a w przypadku wystawienia takiego dokumentu w formie papierowej, RCKiK jest zobowiązany dane wprowadzić do systemu informatycznego.
- b. Wprowadzone dane pozostają w systemie informatycznym umożliwiając tworzenie wybranych raportów, jak również eksport zanonimizowanych danych do formatu edytowalnego.
- c. Wybrane raporty będą scalać dane z niniejszego Programu oraz programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u

	<p>dzieci z hemofilią A i B”.</p> <p>d. W zależności od możliwości technicznych, internetowy system zleceń na koncentraty czynników krzepnięcia i desmopresynę będzie mógł być powiązany z rejestrem chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne.</p> <p>s. 44</p> <p>Wyjaśnienia przyjęte przez AOTMiT</p>	
<p>Mając na uwadze, że obecnie leczenie dzieci chorych na hemofilię odbywa się w ramach programu lekowego finansowanego przez Narodowy Fundusz Zdrowia, warto rozważyć opracowanie rozwiązania mającego na celu zapewnienie kompleksowej i skoordynowanej opieki dla wszystkich chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne w ramach jednego wspólnego programu.</p>	<p>Zgodnie z wyjaśnieniami AOTMiT, stwierdzenie to jest jedynie sugestią AOTMiT i nie należy jej interpretować jako zalecenia przekształcania programu polityki zdrowotnej w program lekowy.</p> <p>Ponadto należy pamiętać, że ewentualny scalony program, w odróżnieniu od obecnie istniejących programów lekowych realizowanych w ramach ustawy z dnia 12 maja 2011 roku o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, nie może zakładać cykliczności podań leków, gdyż <u>zgodnie z raportem AOTMiT,</u></p>	<p>Sugestia niewymagana do uwzględnienia w treści programu</p>

Raport nr: OT.440.3.2018, s. 113, „wytyczne podkreślają, że nie ma jednego uniwersalnego schematu dawkowania niedoborowego czynnika krzepnięcia krwi, który zabezpieczyłby optymalnie potrzeby wszystkich pacjentów. W każdej z wytycznych, w której wskazano schemat leczenia profilaktycznego również podkreślono potrzebę indywidualnego dostosowania schematu leczenia do każdego pacjenta, biorąc pod uwagę m.in.:

- indywidualne parametry farmakokinetyczne (szczególnie czas półtrwania niedoborowego czynnika krzepnięcia), genotyp krwotoczny (ciężki, łagodny), wiek rozpoczęcia profilaktyki, aktywność fizyczna pacjenta, stosowanie się do reżimu profilaktyki długoterminowej (systematyczność wstrzyknień) (PTHiT 2016)
- wiek i aktywność pacjenta, fenotyp krwawień, dostępność czynników

	<p><i>krzepnięcia (WFH 2012),</i></p> <ul style="list-style-type: none"> <i>• odpowiedź kliniczną u danego pacjenta i farmakokinetkę czynnika (NHG 2015)."</i> 	
<p>Monitorowanie i ewaluacja programu wymagają doprecyzowania, szczególnie w zakresie oceny jakości świadczeń udzielanych w programie oraz oceny efektywności programu.</p>	<p>Tworzenie innych wskaźników monitorowania i ewaluacji jest obecnie utrudnione z uwagi na brak rejestru, brak możliwości zasięgnięcia danych o niepełnosprawności lub uprawnieniu do świadczeń rentowych.</p> <p>Ponadto specyfika programu nie wskazuje na konieczność prowadzenia badań ankietowych, gdyż wynik ankiet jest przewidywalny - ankietowani będą wskazywali złą jakość usług w przeszłości (gdy brakowało koncentratu czynnika krzepnięcia) i poprawiającą się sytuację aktualną.</p>	<p>Wyjaśniono w niniejszej tabeli</p>
<p>Budżet programu nie zawiera informacji nt. kosztów odnoszących się do pozycji „zapewnienie produktów emicizumabu, wieprzowego rekombinowanego czynnika VIII oraz innych nowo rejestrowanych produktów leczniczych do leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych dla pacjentów wskazanych przez Radę Programu”, co nie pozwala na weryfikację kosztorysu w przedmiotowym zakresie.</p>	<p>Wyjaśnienia jak wyżej</p>	<p>Wyjaśniono w niniejszej tabeli</p>
<p>Opiniowany projekt programu odnosi się do problemu zdrowotnego dotyczącego hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych. Problem zdrowotny będący przedmiotem ocenianego programu nie wpisuje się w priorytety zdrowotne wymienione w</p>	<p>Program pośrednio daje możliwość realizacji niektórych priorytetów zdrowotnych,</p> <ol style="list-style-type: none"> 1. Umożliwienie rehabilitacji, dzięki dostępności czynników krzepnięcia, 	<p>uwzględniono</p>

<p>Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dn. 27 lutego 2018 r. (Dz.U. 2018, poz. 469).</p>	<ol style="list-style-type: none"> 2. tworzenie warunków sprzyjających utrzymaniu i poprawie zdrowia w środowisku nauki, pracy i zamieszkania - dzięki dostępności do czynników krzepnięcia chorzy zmniejszy się liczba dni opuszczanych w szkole i pracy. Jednak określenie skali dni opuszczanych wskutek niedostatecznej ilości czynników krzepnięcia jest niemożliwa. 3. poprawa jakości skuteczności opieki okołoporodowej - dzięki dostępności do czynników krzepnięcia jest możliwość leczenia nabytej hemofilii, jaka wystąpiła po porodzie. 4. poprawa jakości leczenia bólu oraz monitorowania skuteczności tego leczenia - dzięki dostępności do czynników krzepnięcia, chorzy unikają bólu. <p>s. 7-8</p> <p>Wyjaśnienia przyjęte przez AOTMiT</p>	
<p>W projekcie zaznaczono, że do końca 2023 r. liczba pacjentów objętych opieką wynieść ma 6 000, co wynikać ma z danych Instytutu Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie w zakresie liczebności osób chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne w Polsce. Miernik w postaci „średniego</p>	<p>Dla potrzeb niniejszego Programu najbardziej optymalnym źródłem danych epidemiologicznych, pokrywającym się w dużej części z mierzoną w perspektywie kilkuletniej zgłaszalnością do „Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne</p>	<p>uwzględniono</p>

<p>rocznego zużycia poszczególnych produktów leczniczych na mieszkańca kraju” można odnieść do celu dotyczącego zapewnienia leków poprzez dostęp do czynników krzepnięcia. Przedstawiono również zakładane roczne zużycie do 2023 r. w odniesieniu do wybranych czynników, jednak nie odniesiono się do przyczyn, z powodu których wskazano poszczególne wartości</p>	<p>Skazy Krwotoczne na lata 2012-2018” jest spis chorych prowadzony przez Instytut Hematologii i Transfuzjologii. Dlatego interwencję „utworzenie ośrodków leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych” opisano w pkt III.3.1 Programu, dla której miernik wskazano w punkcie II.3.2 Programu oszacowano w oparciu o tę bazę danych.</p> <p>Wyjaśnienia przyjęte przez AOTMiT</p> <p>s. 10</p>	
<p>Zgodnie z opracowanymi przez Ministerstwo Zdrowia mapami potrzeb zdrowotnych, zapadalność rejestrowana dla rozpoznań z grupy Zaburzenia krzepnięcia i skazy krwotoczne (wrodzone) w 2014 r. wyniosła 0,8 tysięcy przypadków w Polsce. Natomiast współczynnik zapadalności rejestrowanej na 100 tys. ludności wyniósł 2,1. Zapadalność rejestrowana dla rozpoznań z grupy Zaburzenia krzepnięcia i skazy krwotoczne (nabyte) w 2014 r. wyniosła 18,4 tysięcy przypadków w Polsce. Natomiast współczynnik zapadalności rejestrowanej na 100 tys. ludności wyniósł 48,5.i</p>	<p>W programie odniesiono się do map potrzeb zdrowotnych na stronach 15-22.</p>	<p>uwzględniono</p>
<p>Do celu w zakresie zapewnienia leków poprzez dostęp do domowych dostaw czynników krzepnięcia dla pacjentów pobierających regularne ilości można odnieść wskaźnik „liczba pacjentów objętych dostawami domowymi koncentratów czynników</p>	<p>Wyjaśniono, że wprowadza się dostawy domowe koncentratów czynników krzepnięcia <u>na poziomie zgodnym z możliwościami dostosowawczymi administracji Programu do projektowania, kontraktowania i rozliczania</u></p>	<p>uwzględniono</p>

<p>krzepnięcia ze środków programu”, która zgodnie z informacją przedstawioną w treści projektu ma wynieść 50 pacjentów w 2020 r., a w latach kolejnych liczba ta ma zwiększać się o dodatkowych 50 osób (do 200 pacjentów w 2023 r., w tym 150 osób z lat poprzednich). W przypadku ww. miernika również nie wskazano uzasadnienia dla przyjętych wartości docelowych</p>	<p><u>złożonego procesu dostaw domowych</u></p> <p>Dodano też przypis dostawy domowe koncentratów czynników krzepnięcia są wskazane ze względu na obserwowaną dużą skalę niepełnosprawności wśród chorych, jak również coraz większe powierzchnie magazynowe, jakie RCKiK muszą zapełnić koncentratami czynników krzepnięcia, aby zaspokoić wzrastające zapotrzebowanie. Zgodnie z szacunkami lekarzy będących współautorami Programu, liczba 200 pacjentów odzwierciedla liczbę pacjentów z dużymi trudnościami w poruszaniu się.</p> <p>Biorąc pod uwagę powyższe, ograniczenie liczby pacjentów w dostawach domowych wynika z faktu, iż obecnie nie można przewidzieć, czy dostawy domowe nie będą prowadziły do wzrostu cen, tym samym ograniczenia dostępności leku. W związku z tym, wobec z jednej strony konieczności uruchomienia dostaw, a z drugiej ryzyka cenowego, program zakłada ostrożne wdrażanie.</p> <p>s. 41</p>	
<p>Założono, że do 2023 r. każdy z ośrodków leczenia hemofilii powinien wykazać się przeszkoleniem w</p>	<p>Założono, że każdy z ośrodków powinien rocznie skierować na szkolenie ok. czterech lekarzy,</p>	<p>uwzględniono</p>

<p>krajowych ośrodkach odpowiedniej liczby lekarzy, pielęgniarek, fizjoterapeutów, diagnostów laboratoryjnych, ratowników medycznych oraz dyspozytorów medycznych. Przy czym w projekcie wskazano jedynie szacunki dotyczące ogólnej liczby osób z poszczególnych zawodów, które mają zostać przeszkolone w ramach programu, nie zaś w odniesieniu do poszczególnych ośrodków leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych. Ponadto, podobnie jak w przypadku pozostałych mierników, nie uargumentowano, na jakiej podstawie założono przeszkolenie takiej a nie innej liczby osób.</p>	<p>dwóch lekarzy, ok. dwie pielęgniarki i po jednym przedstawicielu z pozostałych zawodów.</p> <p>Liczbę dyspozytorów medycznych szkolonych corocznie skorygowano do liczby równej liczbie dyspozytorni.</p> <p>s. 52</p>	
<p>Ponadto, leki, które są nabywane w ramach opiniowanego programu polityki zdrowotnej nie podlegają ocenie HTA realizowanej przez AOTMiT – nie jest to ścieżka oceny leku w procesie refundacyjnym tj. zgodnie z art. 35 ustawy o refundacji. Zakupy leków odbywają się centralnie, w formie przetargu organizowanego przez Narodowe Centrum Krwi, a co za tym idzie ich cena ustalana jest w procesie ww. przetargu. Oznacza to brak możliwości negocjacji ceny przez Komisję Ekonomiczną Ministerstwa Zdrowia. Z kolei leki wymienione w programie lekowym „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B” podlegają procesowi refundacji tj. przed ich włączeniem do programu wymagana jest ocena AOTMiT zgodnie z art. 35 ustawy o refundacji. Cena leku podlega wówczas negocjacji z Komisją Ekonomiczną Ministerstwa Zdrowia.</p>	<p>Zakupy centralne w ramach dotychczasowego programu doprowadziły do korzystnego zjawiska osiągnięcia niespotykanie niskich cen koncentratów czynników krzepnięcia w Polsce.</p> <p>Ewentualne rozważania w sprawie objęcia leków procesem refundacyjnym wymagałyby przemyślenia, czy proces ten nie doprowadziłby do wzrostu cen. Wówczas w przetargu na lek mogłyby brane tylko leki posiadające decyzję refundacyjną.</p> <p>Należy mieć na uwadze, że urzędowe ceny zbytu uzyskiwane przez Komisję Ekonomiczną w ramach programu „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B” są wielokrotnie wyższe od cen uzyskiwanych w przetargach.</p> <p>Przykłady:</p> <ol style="list-style-type: none"> 1. produkt Immunate - cena uzyskana przez 	<p>Wyjaśniono częściowo w treści programu,</p> <p>Wyjaśniono częściowo w niniejszej tabeli</p>

	<p>Komisję Ekonomiczną wynosi 2,0412 zł podczas, gdy w przetargu uzyskano cenę <u>0,35 zł.</u> (ostatecznie w przetargu kupiono inny tańszy produkt spoza listy refundacyjnej).</p> <p>2. produkt Octanine - cena uzyskana przez Komisję Ekonomiczną wynosi 1,02 zł podczas, gdy w przetargu uzyskano cenę <u>0,4436 zł.</u></p> <p>3. produkt Advate - cena uzyskana przez Komisję Ekonomiczną wynosi 3,2292 zł podczas, gdy w przetargu uzyskano cenę <u>0,7884 zł</u> (wraz z kosztem terapii ITI w przypadku wytworzenia inhibitora).</p> <p>4. produkt Rixubis - cena uzyskana przez Komisję Ekonomiczną wynosi 2,678 zł podczas, gdy w przetargu uzyskano cenę <u>1,3716 zł</u> (wraz z kosztem terapii ITI w przypadku wytworzenia inhibitora).</p> <p>W programie zawarto wyjaśnienia na stronie 6.</p> <p>s. 6</p> <p>Wyjaśnienia przyjęte przez AOTMiT</p>	
<p>W programie zaplanowano także przeprowadzenie szkoleń dla kadr medycznych, jednakże nie uszczegółowiono ich tematyki, co należy uzupełnić. Zgodnie z rekomendacją WFH 2012, tematyka ta</p>	<p>Tematyka szkoleń została uzupełniona załączniku nr 3 do Programu. Nie wpisano jednak tematu zasad prowadzenia dokumentacji medycznej, gdyż zdaniem lekarzy temat ten nie</p>	<p>Uwzględniono, z wyjątkiem szkoleń z prowadzenia dokumentacji</p>

<p>powinna obejmować m.in. zasady rozpoznawania krwawień oraz ich powikłań, zasady podawania oraz przechowywania koncentratów czynników krzepnięcia, jak również zasady prowadzenia dokumentacji medycznej.</p>	<p>powinien być omawiany w trakcie szkoleń.</p>	<p>medycznej</p>
<p>W treści projektu nie odniesiono się do oceny jakości świadczeń udzielanych w ramach programu, co należy uzupełnić.</p>	<p>Specyfika programu nie wskazuje na konieczność prowadzenia badań ankietowych, gdyż wynik ankiet jest przewidywalny – ankietowani będą wskazywali złą jakość usług w przeszłości (gdy brakowało koncentratu czynnika krzepnięcia) i poprawiającą się w teraźniejszości.</p>	<p>Wyjaśniono w niniejszej tabeli</p>
<p>W ramach ewaluacji programu wymieniono wybrane mierniki efektywności, tj. „liczbę pacjentów objętych opieką ośrodków leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych na koniec programu polityki zdrowotnej”, „wskaźniki zużycia poszczególnych rodzajów koncentratów czynników krzepnięcia na mieszkańca kraju” oraz „liczbę pacjentów objętych dostawami domowymi koncentratów czynników krzepnięcia”. Należy mieć na uwadze, że ewaluacja stanowi źródło danych o wpływie prowadzonych działań na zdrowie populacji i powinna być oceną długoterminową, wykraczającą znacznie poza okres trwania programu. Ocena efektywności programu powinna odzwierciedlać zdolność programu do efektywnej realizacji wyznaczonych celów. Jej planowanie powinno się opierać na porównaniu stanu sprzed wprowadzenia działań w ramach programu, a stanem po jego zakończeniu. Dodać należy, że zaproponowane</p>	<p>Obecnie brak jest możliwości uzyskania takich danych w skali ogólnopolskiej. Zmienić to może objęcie regularną opieką ośrodków leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych dużej populacji pacjentów i skrupulatne uzupełnianie rejestru przez ośrodki.</p> <p>W związku z powyższym, wprowadzono zapis w programie: „Utworzenie rejestru medycznego (...) obejmującego m. in. dane dotyczące (...)wyników stanu fizycznego pacjentów, zastosowanych metod obrazowania, wyników czynnościowych, przebytych operacji chirurgicznych, dat i przyczyn zgonów, a także jakości życia pacjenta oraz generowanych kosztów, np. liczby dni opuszczonych w szkole lub pracy.</p>	<p>uwzględniono</p>

<p>wskaźniki nie będą odnosić się wprost do uzyskiwanych efektów zdrowotnych.</p> <p>Zgodnie z odnalezionym przeglądem systematycznych Boehlen 2014, jasno zdefiniowane punkty końcowe w opiece nad chorymi z hemofilią są niezwykle istotne. Pozwalają one bowiem m.in. na właściwą ewaluację stosowanych metod leczenia, zarówno w aspekcie klinicznym, jak i ekonomicznym. W ramach monitorowania oraz ewaluacji programów w omawianym zakresie pod uwagę należy brać: wyniki stanu fizycznego pacjenta, zastosowanych metod obrazowania, wyniki czynnościowe, a także jakość życia pacjenta oraz generowane koszty.</p>	<p>s. 36</p> <p>Wyjaśnienia przyjęte przez AOTMiT</p>	
<p>W projekcie wskazano, że „diagnostyka hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych” będzie finansowana ze środków NFZ. Jednakże nie uszczegółowiono zakresu tych działań. Niemożliwe jest zatem zweryfikowanie, czy działania planowane do finansowania w ramach NFZ nie będą się pokrywały z działaniami finansowanymi w ramach opiniowanego programu.</p>	<p>W wprowadzono zapis „Diagnostyka hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych - finansowana ze środków NFZ. Zakres badań diagnostycznych - zgodnie z rozporządzeniem Ministra Zdrowia z dnia 22 listopada 2013 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu leczenia szpitalnego, załącznika nr 3, części I poz. 21 lub 32 lit. A lub B” .</p> <p>s. 32-33</p> <p>wyjaśnienia przyjęte przez AOTMiT</p>	<p>uwzględniono</p>
<p>Na podstawie informacji zawartych zarówno w aktualnym projekcie programu, jak i w treści</p>	<p>W tabeli 11 sformułowanie wtórna profilaktyka zostało konsekwentnie zamienione</p>	<p>uwzględniono</p>

<p>poprzedniej edycji programu (tj. Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2012-2018), nie można jednoznacznie stwierdzić, czy działania z zakresu profilaktyki pierwotnej będą wchodziły (wchodzi) w skład zaplanowanych interwencji. Z treści opiniowanego programu wynika, że podejmowane będą działania z zakresu leczenia krwawień w warunkach domowych, profilaktyki wtórnej, prowadzony będzie także program immunotolerancji, leczenie ambulatoryjne oraz szpitalne. Nie wskazuje się zatem bezpośrednio na profilaktykę pierwotną. Z kolei działania z zakresu profilaktyki pierwotnej zostały wskazane w świadczeniach gwarantowanych, finansowanych przez NFZ („Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”). Świadczenia te dotyczą dzieci do 18 r.ż. W przypadku dzieci osiągniętych pełnoletność i tym samym kończących udział w programach NFZ, a wymagających kontynuacji profilaktyki pierwotnej krwawień, zachodzi ryzyko przerwania ciągłości leczenia. Dotyczy to jednak jedynie sytuacji, w której opiniowany program nie uwzględniałby działań z zakresu profilaktyki pierwotnej krwawień.</p>	<p>sformułowaniem profilaktyka.</p> <p>W warunkach polskich profilaktyka u dorosłego chorego dotychczas była de facto wtórną profilaktyką, gdyż chorzy przebyli wcześniej wylewy do stawów. Niemniej jednak sformułowanie zostało poprawione z uwagi na pacjentów osiągniętych pełnoletność i kończących program „zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”, którzy mogli nie przebyć istotnych wylewów.</p> <p>s. 31-32</p> <p>Wyjaśnienia przyjęte przez AOTMiT</p>	
<p>Projekt nie przewiduje rezygnacji z udziału w programie na życzenie uczestnika, na każdym etapie.</p>	<p>Wprowadzono możliwość rezygnacji z udziału w programie na życzenie uczestnika na każdym etapie.</p> <p>s. 31-32, s. 39</p>	<p>uwzględniono</p>

<p>Należy także pamiętać o uwzględnieniu w organizacji programu elementu dotyczącego kampanii informacyjnej nt. programu.</p>	<p>Wobec dużej świadomości funkcjonowania dotychczasowych programów wśród chorych na hemofilię, kampania informacyjna nie wydaje się być konieczna (a byłaby kosztowna).</p> <p>Przedstawiciele AOTMiT wyjaśnili, że to jest element klasycznego programu polityki zdrowotnej, który być może nie koniecznie musi być wymagany w tym programie</p>	<p>Wyjaśniono w niniejszej tabeli</p>
<p>Jednakże należy zauważyć, że w projekcie przedstawiono jedynie liczbę jednostek danych produktów leczniczych, jakie zakupione zostaną w kolejnych latach realizacji programu oraz koszt ich zakupu w danym roku. Natomiast nie wskazano uzasadnienia dla założonych wartości.</p>	<p>Wzrost ilości stosowanych produktów leczniczych będzie następował z uwagi na upowszechnianie się opieki nad pacjentami przez ośrodki leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych. Obecnie, chorzy którzy nie mają kontaktu z hematologami, wielokrotnie przyjmują zbyt małe dawki leków (<u>poniżej ilości wskazanych w zaleceniach</u>).</p> <p>Jednocześnie program zakłada bardzo ograniczony wzrost stosowania czynników aPCC i rVIIa, gdyż zakłada się, że wobec poprawiającej się opieki nie powinno przybywać pacjentów z inhibitorami.</p> <p>s. 49</p>	<p>uwzględniono</p>
<p>Ponadto w treści projektu nie wskazano nazw handlowych preparatów, jakie mają zostać zakupione w ramach programu, w związku nie była możliwa weryfikacja kosztów wskazanych w tym</p>	<p>Brak nazw handlowych wynika ze stosowania przepisów o zamówieniach publicznych. W związku z tym pod tabelą 14 wprowadzono przypis „Zgodnie z art. 29 ust. 3 ustawy z</p>	<p>Wyjaśniono w treści programu</p>

zakresie.	<p>dnia 29 stycznia 2004 roku Prawo zamówień publicznych, nie wskazuje się nazw handlowych produktów leczniczych, dopuszczając wybór dowolnego produktu w danym rodzaju w zależności od wyniku postępowania o udzielenie zamówienia publicznego”</p> <p>s. 48</p> <p>Wyjaśnienia przyjęte przez AOTMiT</p>	
<p>Autorzy przeglądu systematycznego Boehlen 2014 wnioskuje, iż jasno zdefiniowane punkty końcowe w opiece nad chorymi z hemofilią są bardzo istotne w celu: ewaluacji nowych metod leczenia, uzasadnienia podejmowanej strategii postępowania terapeutycznego, właściwej obserwacji pacjenta, prowadzenia badań w omawianym zakresie oraz właściwego ulokowania środków finansowych. Do stosowanych wskaźników monitorowania i ewaluacji chorych z hemofilią należą: punktowe wyniki stanu fizycznego pacjenta; punktowe wyniki zastosowanych metod obrazowania, punktowe wyniki czynnościowe, pomiary jakości życia, dane ekonomiczne/koszty (Boehlen 2014).</p>	<p>W związku z powyższym, wprowadzono zapis w programie: „Utworzenie rejestru medycznego (...) obejmującego m. in. dane dotyczące (...) wyników stanu fizycznego pacjentów, zastosowanych metod obrazowania, wyników czynnościowych, przebytych operacji chirurgicznych, dat i przyczyn zgonów, a także jakości życia pacjenta oraz generowanych kosztów, np. liczby dni opuszczonych w szkole lub pracy.</p> <p>s. 36</p> <p>Wyjaśnienia przyjęte przez AOTMiT</p>	uwzględniono
W odniesieniu do celu w zakresie objęcia pacjentów z hemofilią i pokrewnymi skazami krwotocznymi	Zgłaszalność do programu nie jest tożsama z objęciem pacjentów z hemofilią i pokrewnymi	Wyjaśniono w treści programu

<p>kompleksową opieką w ośrodkach leczenia hemofilii, wskazano miernik w postaci „liczby pacjentów objętych opieką ośrodków leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych”. Warto zauważyć, że wskaźnik ten można zastosować również w ocenie zgłaszalności do programu.</p>	<p>skazami krwotocznymi kompleksową opieką w ośrodkach leczenia hemofilii. W dotychczasowej edycji programu pacjenci zgłaszali się do programu (po czynnik krzepnięcia) niekoniecznie będąc pod opieką ośrodków. Nowy program ma to zmienić.</p> <p>s. 28</p> <p>Przedstawiciele AOTMiT przyjęli wyjaśnienia</p>	
--	--	--