



**Opinia Prezesa
Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
nr 81/2015 z dnia 17 kwietnia 2015 r.
o projekcie programu miasta Mińsk Mazowiecki „Profilaktyka
i wczesne wykrywanie chorób nowotworowych u dzieci z terenu
miasta Mińsk Mazowiecki w wieku od 9. miesiąca życia do 6. roku
życia włącznie”**

Po zapoznaniu się z opinią Rady Przejrzystości negatywnie opiniuję projekt programu polityki zdrowotnej „Profilaktyka i wczesne wykrywanie chorób nowotworowych u dzieci z terenu miasta Mińsk Mazowiecki w wieku od 9 miesiąca życia do 6 roku życia włącznie”

Uzasadnienie

Omawiany projekt programu zdrowotnego porusza bardzo istotną kwestię wczesnego wykrywania chorób nowotworowych u dzieci. Jednak Autor projektu zdawkowo opisuje problem zdrowotnych oraz efekty końcowe przewidziane w ramach programu zdrowotnego. W projekcie brakuje uwzględnienia wytycznych AOTMiT w kwestii przygotowania programu, zaś interwencja odnosi się do nierekomendowanych badań USG w ramach badań przesiewowych. Poprawę wymaga również kwestia zdefiniowania populacji docelowej, z uwzględnieniem aktualnych danych epidemiologicznych oraz sposobów monitorowania i ewaluacji projektu. Należy zastanowić się nad wybraną interwencją, gdyż wskazane działanie jest dostępne w ramach koszyka świadczeń gwarantowanych.

Przedmiot opinii

Przedmiotem opinii jest projekt programu zdrowotnego w mieście Mińsk Mazowiecki dotyczący wczesnego wykrywania i profilaktyki nowotworowej u dzieci. W ramach programu prowadzone mają być działania diagnostyczne oraz edukacyjne. Autor nie określił dokładnego czasu realizacji projektu, natomiast budżet został ustalony na 15 000 zł. Projekt zakłada przebadanie 190 dzieci z obszaru miasta Mińsk Mazowiecki, gdzie o udziale w badaniach ma decydować kolejność zgłoszeń.



Ocena projektu programu polityki zdrowotnej

Znaczenie problemu zdrowotnego

Autor programu porusza bardzo ważną kwestię, jaką są choroby nowotworowe u dzieci. Pomimo znacznego postępu medycyny nowotwory dziecięce są drugą co do częstości przyczyną zgonu, wśród dzieci do 15 r. ż. Założenia projektu dotyczą problematyki zawartej w „Narodowym Programie Zwalczania Chorób Nowotworowych na lata 2006-2015”, gdzie jednym z założeń strategicznych jest: zmniejszenie zachorowalności i przedwczesnej umieralności z powodu nowotworów złośliwych w populacji. Autor projektu nie precyzuje do których chorób nowotworowych odnosi się omawiany projekt. Problem zdrowotny został opisany zbyt ogólnie i zdawkowo i pozwala jedynie domniemywać, na jakich jednostkach chorobowych będzie się skupiać (specyfika badań diagnostycznych). Ponadto w opisie problemu odnaleziono błąd merytoryczny, gdyż nie ma takiego pojęcia jak „profilaktyka wykrywania chorób nowotworowych”. Zgodnie z definicją, profilaktyka zdrowotna to działania mające na celu zapobieganie chorobom poprzez ich wczesne wykrycie i leczenie.

Cele i efekty programu

W projekcie programu nie podano celu głównego, co wymaga uzupełnienia. Wymienione zostały natomiast cele szczegółowe przeprowadzonej interwencji. Autor zalicza do nich zwiększenie dostępności do badań USG dla dzieci, zmniejszenie wskaźnika zachorowalności i umieralności z powodu nowotworów, zapewnienie wysokiej jakości świadczonych usług w ramach programu i poprawę świadomości społecznej. W projekcie nie wskazano efektów końcowy założonych działań oraz ich mierników.

Do celów wczesnego wykrywania nowotworów u dzieci należy przede wszystkim zmniejszenie ryzyka przedwczesnego zgonu, poprawa jakości życia i zwiększenie możliwości do samodzielnej egzystencji, zwiększenie skuteczności stosowanych metod diagnostycznych oraz terapii.

Populacji docelowa

Program skierowany jest do dzieci zamieszkujących na terenie miasta Mińsk Mazowiecki w wieku od 9 miesiąca życia do 6 roku życia włącznie. W ramach Programu szacuje się przebadanie 190 dzieci. Autor programu nie przedstawia dokładnych danych epidemiologicznych dotyczących populacji docelowej. Jak wynika z raportu Głównego Urzędu Statystycznego z 2013 roku teren Mińska Mazowieckiego zamieszkują 3662 osoby w wieku 0-6 lat, co stanowi 10% wszystkich mieszkańców. Dane epidemiologiczne dotyczące problematyki nowotworów na tym obszarze przedstawione przez SPZOZ w Mińsku wskazują, że w roku 2014 stwierdzono podejrzenie choroby nowotworowej u 1 dziecka. Natomiast w ramach przeprowadzonej akcji „Nie! Nowotworom u dzieci” w dn. 16-17 kwietnia 2014 r. przebadano 138 osób w wieku 9 m.ż.-6 lat, gdzie 18 z nich zalecono dalszą diagnostykę i dodatkowe konsultacje lekarskie.

Należy zaznaczyć, że Autor wniosku nie wskazuje kryteriów włączenia do programu. Z badań będą mogły skorzystać osoby wg kolejności zgłoszeń, co może być przyczyną nierówności w dostępie do świadczenia i nie stanowi przesłanki klinicznej do wdrożenia badania. Dodatkowo wnioskodawca planuje przebadanie 190 osób w ramach projektu, co stanowi jedynie 5% populacji docelowej, więc nie stanowi badania przesiewowego.

Interwencja

Projekt zdrowotny składa się z diagnostycznych badań ultrasonograficznych jamy brzusznej, szyi, tarczycy, węzłów chłonnych oraz u chłopców – moszny oraz konsultacji lekarskiej. Wnioskodawca nie precyzuje czasu i miejsca wykonania poniższych badań oraz specjalizacji lekarza omawiającego wyniki. Ponadto w Polsce realizowany jest program „Program Wczesnej Diagnostyki Obrazowej Nowotworów u Dzieci w latach 2012-2016:”, którego celem jest poprawa wykrywalności nowotworów u dzieci we wczesnych stadiach klinicznych zaawansowania choroby, a także ograniczenie skutków ekonomicznych niepełnosprawności i przedwczesnej umieralności spowodowanych zbyt późnym rozpoznaniem choroby.

W omawianym projekcie zabrakło kryteriów kwalifikacji dzieci do zaplanowanych badań. Powinna się ona odbywać na podstawie objawów, wskazujących na możliwość wystąpienia procesu nowotworowego. Kwalifikacji do badania dokonuje lekarz podstawowej opieki zdrowotnej, zaś wyniki z przeprowadzonych badań i ewentualnymi skierowaniami do dalszej diagnostyki powinien być wręczony rodzicom oraz lekarzowi kierującemu.

Istotną kwestią jest użyteczność i skuteczność wskazanej metody diagnostycznej w rozpoznawaniu nowotworów dziecięcych. W przypadku białaczek u 95% pacjentów stwierdza się odchylenia w badaniach morfologicznych, zaś przy pomocy badania USG jamy brzusznej można stwierdzić powiększenie wątroby, śledziony, węzłów chłonnych, nacieki w nerkach i jajnikach. W przypadku guzów mózgu po stwierdzeniu występowania objawów klinicznych, w celu postawienia rozpoznania niezbędne do wykonania są badania MRI lub CT. Badanie USG nie jest rekomendowane w tym przypadku. Badanie USG może okazać się skuteczne w diagnostyce nowotworów w obrębie jamy brzusznej i tkanek miękkich.

W planowanych interwencjach należałoby również rozważyć możliwość wykonania innych badań różnicujących występowanie procesu nowotworowego (m.in. badania laboratoryjne).

W przedstawionym projekcie programu Autor przewiduje działania w kierunku poprawy świadomości społecznej na temat profilaktyki nowotworów. Jednak nie zostały wskazane szczegółowe działania ukierunkowane na ten cel. Kwestia ta wymaga dopracowania i uzupełnienia o odpowiednie materiały informacyjne.

Monitoring i ewaluacja

Wnioskodawca w projekcie nie uwzględnił jego monitorowania i ewaluacji. Zważywszy na fakt, że powyższy program jest programem pilotażowym szczególna uwaga powinna zostać poświęcona jego ewaluacji. Odpowiednie zweryfikowanie skutków podjętych działań pozwoli w odpowiedni sposób ocenić skuteczność danej interwencji i podjąć decyzję o ewentualnej kontynuacji lub zakończeniu programu. W opinii eksperckiej prof. Danuty Perek monitorowanie efektów realizacji powinno skupiać się przede wszystkim na:

- Liczbie dzieci z wcześniejszym wykryciem choroby nowotworowej dzięki programowi w stosunku do kosztów,
- Liczbie dzieci u których nie wykryto istniejącego procesu nowotworowego, a które miały wykonane badania w programie,
- Liczbie dzieci z fałszywie dodatnimi wynikami badań,
- Ocenie sposobu i efektów leczenia dzieci z chorobą wykrytą dzięki programowi w stosunku do dzieci, u których doszło do rozpoznania w normalnym trybie w ciągu ostatnich 5 lat.

Warunki realizacji

Okres realizacji projektu został nieprecyzyjnie określony. Autor wskazuje, że program będzie stanowić kilkudniową akcję profilaktyczną lub też zostanie rozłożony na dłuższy okres. Nie wskazano również w jakich latach powyższy projekt ma być wdrażany. Informacje te muszą zostać uzupełnione.

Badania będą realizowane poprzez podmiot wyłoniony w ramach konkursu ofert, spełniający kryterium wyboru, który stanowi wysokość stawki za jedno badanie ultrasonograficzne wraz z konsultacją lekarską. Podmiot realizujący będzie zobowiązany do zapewnienia odpowiednich warunków kadrowych, rzeczowych i lokalowych do udzielania świadczeń medycznych.

Koszt całkowity programu został oszacowany na 15 000 zł. Nie wskazano jednak kosztów jednostkowych badań USG oraz konsultacji lekarskiej. Biorąc pod uwagę planowaną ilość uczestników, koszt ten można oszacować na ok. 79zł. Stawka ta w odniesieniu do stawek rynkowych wydaje się być zaniżona. Ponadto w kosztorysie nie uwzględniono kosztów kampanii informacyjnej.

Wnioski z oceny technologii medycznej przeprowadzonej przez Agencję

Problem zdrowotny

Nowotwory złośliwe u dzieci są chorobą występującą rzadko, jednak nadal pozostają drugą co do częstości przyczyną zgonów wśród dzieci do 15 roku życia. Dotyczą one najczęściej szpiku kostnego, układu chłonnego, ośrodkowego układu nerwowego, nerek, układu współczulnego, tkanek miękkich, kości, gonad, wątroby i siatkówki. Cechą odróżniającą je od nowotworów dorosłych jest ich nabłonkowe pochodzenie, zaś w obrazie mikroskopowym większość z nich to nowotwory drobnookrągłokomórkowe. Charakteryzują się dużą frakcją wzrostową i dynamiką wzrostu, co może stanowić duże zagrożenie życia. W związku z tym, w trakcie rozpoznania proces chorobowy jest już najczęściej zaawansowany, ale też duża dynamika wzrostu wiąże się ze znacznie wyższą wrażliwością na chemioterapię. Niezależnie od stadium nowotworu trwale można wyleczyć 75% dzieci, a im mniejsza masa nowotworu tym skuteczniejsze leczenie. Wyróżnia się 4 stadia zaawansowania choroby nowotworowej:

- I stadium: guz umiejscowiony wewnątrz narządu, z którego się wywodzi. Musi być usunięty chirurgicznie bez mikroskopowych pozostałości;
- II stadium: zajęcie przez proces nowotworowy narządu i regionalnych węzłów chłonnych. Możliwa jest resekcja makroskopowa;
- III stadium: duży guz wychodzący poza narząd, z którego się wywodzi, naciekający sąsiednie narządy. Nie jest możliwe jego radykalne usunięcie, nawet makroskopowo, bez zabiegu okaleczającego;
- IV stadium: proces rozsiany. Do rozsiewu dochodzi droga naczyń krwionośnych i/lub limfatycznych.

Do najczęstszych nowotworów występujących u dzieci zalicza się: białaczkę, chorobę Hodgkina, nieziarnicze chłoniaki złośliwe, histocytozę z komórek Langerhansa, guzy mózgu, nerwiak niedojrzały, zwojak zarodkowy współczulny, guz Wilmsa, mięsaki tkanek miękkich, nowotwory złośliwe kości, nowotwory z pierwotnych komórek rozrodczych, siatkówczak (retinoblastoma), nowotwory wątroby, guzy tarczycy.

Dane pochodzące z Krajowego Rejestru Nowotworów z 2012r. wskazują, że u dzieci do 9 roku życia wśród zachorowań dominują białaczka limfatyczna, nowotwór złośliwy mózgu i nowotwory złośliwe nerki. Najczęstszą przyczyną zgonów są białaczki limfatyczne i nowotwory mózgu. Dane te wskazują, że trendy zachorowalności i umieralności na nowotwory złośliwe są zróżnicowane w zależności od grup wiekowych. Wśród najmłodszych (0-19 lat) w ciągu minionej dekady zachorowalność wzrastała nieznacznie w podobnym tempie u obu płci.

Alternatywne świadczenia

W ramach istniejącego systemu ochrony zdrowia, zgodnie z rozporządzeniami Ministra Zdrowia, pacjenci mają dostęp do badań ultrasonograficznych w ramach podstawowej i specjalistycznej opieki medycznej. Wdrożenie powyższego programu może skutkować powieleniem się udzielanych świadczeń. Ponadto w Polsce realizowany jest „Program Wczesnej Diagnostyki Obrazowej Nowotworów u Dzieci w latach 2012-2016:”, którego celem jest poprawa wykrywalności nowotworów u dzieci we wczesnych stadiach klinicznych zaawansowania choroby, a także ograniczenie skutków ekonomicznych niepełnosprawności i przedwczesnej umieralności spowodowanych zbyt późnym rozpoznaniem choroby.

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

Ocena technologii medycznej

Przedstawiona w projekcie programu technologia medyczna dotycząca wczesnego wykrywania chorób nowotworowych u dzieci za pomocą badań USG, jest nierekomdowanym sposobem prowadzenia badań przesiewowych. Należy mieć również na uwadze różnorodność nowotworów dziecięcych, a co za tym idzie różne metody ich diagnozowania. Autor projektu powinien wziąć pod uwagę sposoby kwalifikowania do badania, ze szczególnym uwzględnieniem grup wysokiego ryzyka wystąpienia choroby nowotworowej – zespoły genetyczne i wady wrodzone towarzyszące poszczególnym nowotworom, w szczególności guzom mózgu, w których okres od wystąpienia pierwszych objawów do ustalenia rozpoznania jest najdłuższy. W Projekcie należałoby uwzględnić choroby nowotworowe, wystąpienie których skłoniłoby lekarza do kierowania dziecka na badanie obrazowe. Do objawów wymagających pilnej diagnostyki należy zaliczyć: nieprawidłową liczbę krwinek, wybroczyny, zmęczenie u wcześniej zdrowych dzieci zwłaszcza jeśli jest związane z ogólnym powiększeniem węzłów chłonnych lub hepatosplenomegalią, ból kostny zwłaszcza jeśli jest rozproszony lub obejmuje plecy, jest trwale zlokalizowany w jednym miejscu, wymaga znieczulenia, ogranicza aktywność, powiększenie węzłów chłonnych zwłaszcza jeśli brakuje dowodów infekcji, ból głowy zwłaszcza jeśli narasta jego siła lub

częstość, wiąże się z porannym złym samopoczuciem, wymiotami, zaburzeniami neurologicznymi (zez, ataksja), zmianami zachowania lub pogorszeniem wyników szkolnych, masy wyczuwalne w obrębie tkanek miękkich zwłaszcza jeśli charakteryzują się szybkim wzrostem, rozmiarem przekraczającym 3 cm w największym wymiarze, są związane z powięzią, towarzyszy im powiększenie regionalnego węzła chłonnego.

Wytyczne kliniczne oraz wytyczne eksperckie zgodnie wskazują, że w podanych wskazaniach zasadne jest stosowanie również innych interwencji: badań laboratoryjnych, badań genetycznych, USG, CT, MR, PET.

Istotną kwestią w omawianym zagadnieniu jest również edukacja zdrowotna głównie rodziców/opiekunów dzieci. Autor projektu zaznacza kwestię edukacyjną, jednak nie przedstawia szczegółów jej organizacji. W profilaktyce nowotworowej duże znaczenie ma świadomość opiekunów oraz regularne badania kontrolne dzieci. Istotna jest również stała obserwacja zachowań dziecka i wysyłanych przez niego sygnałów dotyczących odczuwanych dolegliwości. Najlepszą drogą edukacji rodziców/opiekunów są informacje przekazywane w poradniach zdrowia dzieci w trakcie prowadzonych bilansów, oraz w placówkach oświatowo-wychowawczych (żłobki, przedszkola). Natomiast regionalne projekty wczesnej diagnostyki nowotworowej poza badaniami powinny skupiać się także na przeprowadzeniu rzetelnej kampanii informacyjnej.

Biorąc pod uwagę powyższe argumenty, opiniuję, jak na wstępie.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt 3 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2008 r. Nr 164, poz. 1027 z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu: AOTMiT-OT-441-66/2015 „Profilaktyka i wczesne wykrywanie chorób nowotworowych u dzieci z terenu miasta Mińsk Mazowiecki w wieku od 9. miesiąca życia do 6. roku życia włącznie”, Warszawa, marzec 2015 oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy w zakresie wczesnej diagnostyki obrazowej nowotworów u dzieci – wspólne podstawy oceny”, Warszawa, lipiec 2012