



Rekomendacja nr 66/2011

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych

z dnia 19 września 2011 r.

w sprawie zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej „wszczepienie pompy baklofenowej w leczeniu spastyczności opornej na leczenie farmakologiczne” jako świadczenia gwarantowanego

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

Uzasadnienie rekomendacji

Prezes Agencji przychylił się do stanowiska Rady Konsultacyjnej¹, iż zasadne jest zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „wszczepienie pompy baklofenowej w leczeniu spastyczności opornej na leczenie farmakologiczne” jako świadczenia gwarantowanego, pod następującymi warunkami: obniżenia ceny pompy programowalnej do poziomu ceny pompy pneumatycznej, zmniejszenia ceny baklofenu dokanałowego oraz ścisłego przestrzegania określonych kryteriów kwalifikacji do leczenia przy wykorzystaniu pompy baklofenowej.

Na podstawie przeglądu systematycznego badań bez grupy kontrolnej można wnioskować, że leczenie baklofenem podawanym dokanałowo w leczeniu spastyczności pochodzenia zarówno mózgowego jak i rdzeniowego jest skuteczne, a terapia jest bezpieczna klinicznie. Jednocześnie, należy podkreślić fakt, iż badania oceniające wyroby medyczne z reguły charakteryzują się niższą wiarygodnością w porównaniu do badań oceniających efektywność kliniczną leku.

Zgodnie z wyliczeniami analityków Agencji zastosowanie baklofenu podawanego dokanałowo jest opcją terapeutyczną efektywną kosztową.

Stosowanie pompy baklofenowej w ramach programu terapeutycznego bądź w ramach zakresu leczenia szpitalnego można rozważać w przypadku obniżenia ceny pompy programowalnej do poziomu ceny pompy pneumatycznej oraz zrównania kosztów przypadających na 1 rok użytkowania (pompa programowalna 7 lat, pompa pneumatyczna 15 lat). Niezbędne jest również objęcie wykazem cen urzędowych baklofenu podawanego dokanałowo.



Program terapeutyczny pozwoli na kontrolę stosowania pompy wyłącznie w przypadkach ciężkiej, obustronnej, uogólnionej spastyczności kończyn trwającej przynajmniej 12 miesięcy, odpornej na leczenie farmakologiczne. **Warunkiem włączenia świadczenia do realizacji w ramach leczenia szpitalnego niezbędne będzie prowadzenie ścisłego rejestru pacjentów w celu monitorowania kwalifikacji i efektywności leczenia w ramach świadczenia. Istotne jest ścisłe przestrzeganie określonych kryteriów kwalifikacji do terapii pompą baklofenową.**

Problem zdrowotny

Spastyczność, zarówno pochodzenia rdzeniowego, jak i mózgowego, będąca pierwotnym objawem uszkodzenia centralnego układu nerwowego, prowadzi do różnego stopnia upośledzenia funkcjonalnego chorych. Spastyczność jest zaburzeniem ruchowym, które charakteryzuje się napięciem lub sztywnością mięśni i które może utrudniać ruchy mięśni zależnych od woli. Spastyczność zapoczątkowuje serię zdarzeń, które poprzez ograniczenie prawidłowej funkcji mięśni i wzrost ich napięcia prowadzi do powstawania przykurczów mięśniowo-ścięgnistych, deformacji kości i sztywności lub niestabilności stawów.²

Niedowład spastyczny może być wynikiem uszkodzenia ośrodkowego układu nerwowego (OUN). Obecny jest w przebiegu: porażenia mózgowego (CP), rozległych urazów czaszkowo-mózgowych (BI), udaru mózgu (CVA), uszkodzenia rdzenia kręgowego (SCI), stwardnienia rozsianego (MS) oraz w wyniku postępujących chorób zwyrodnieniowych układu nerwowego z zajęciem górnego neuronu ruchowego z objawami piramidowymi i pozapiramidowymi (leukodystrofie, choroba Hallervordena-Spatza, ceroidolipofuscynoza, choroba Huntigntona i in.).²

Badanie stopnia spastyczności polega na kompleksowej ocenie i badaniu neurologicznym, ortopedycznym, fizjoterapeutycznym, z określeniem zakresu dziennej aktywności życiowej przed specyficznym leczeniem i po jego zastosowaniu. Obejmuje ono badanie napięcia mięśniowego, ruchomości, siły, równowagi i wytrzymałości. Dla obiektywnej oceny pacjenta ze spastycznością stosuje się m.in.: pomiary goniometryczne, ilościową komputerową obiektywną analizę chodu, zmodyfikowaną skalę Ashwortha oceny napięcia mięśniowego, pomiar obustronny przywodzicieli i inne. Dobór testu jest stosowany w zależności od spodziewanych zmian i wyników po zastosowanym wybranym sposobie leczenia.²

Dokładne rozpowszechnienie spastyczności nie jest znane, lecz uważa się, że jest nią dotkniętych około poł miliona osób w USA i 12 milionów osób na świecie. Ciężka spastyczność, ograniczająca aktywność życiową i będąca przyczyną dolegliwości bólowych kształtuje się następująco, w zależności od pierwotnej przyczyny: 20-30% w dziecięcym CP, 13% w MS, 20 % po SCI, 75% osób dotkniętych niepełnosprawnością po ciężkim urazie mózgu (TBI oraz ok. 1/3 osób, które przeżyły CVA). U ok. 25% chorych ze spastycznością najbardziej powszechne leczenie farmakologiczne doustnym baklofenem kończy się niepowodzeniem. Ocenia się, że ok. 5% pacjentów ze spastycznością pochodzenia rdzeniowego, 7% dzieci z CP oraz nawet 1/3 pacjentów ze spastycznością pochodzenia mózgowego może wymagać leczenia za pomocą pompy baklofenowej.²

Mechanizm powstawania spastyczności nie jest do końca wyjaśniony. Jedną z głównych przyczyn powstawania tego schorzenia jest zaburzenie w regulacji napięcia mięśniowego w OUN, dochodzi do utraty kontroli ośrodk nad rdzeniem nad ośrodkiem rdzeniowym, co powoduje nadmierną pobudliwość motoneuronów alfa i gamma. Konsekwencją tego jest wzrost tonusu mięśniowego, niedowład lub bezwład mięśni, brak kontroli nad koordynacją ruchową i napięciem mięśniowym, zmiany działania i struktury mięśni.²

Wśród chorych wymagających wszczęcia pompy baklofenowej najczęściej są pacjenci z mózgowym porażeniem dziecięcym i stwardnieniem rozsianym. Do leczenia kwalifikują się chorzy spełniający wszystkie następujące warunki: ciężka, przewlekła, uogólniona, obustronna, trwająca

najmniej 12 miesięcy spastyczność kończyn w przebiegu stwardnienia rozsianego, dziecięcego porażenia mózgowego, niedokrwienego lub pourazowego uszkodzenia mózgu lub rdzenia kręgowego (u chorych wcześniej operowanych czas od operacji najmniej 12 miesięcy), trwająca najmniej 12 miesięcy ciężka (>3 w skali Ashwortha) spastyczność kończyn, utrzymująca się pomimo zgodnego z zasadami leczenia farmakologicznego, stopień nasilenia spastyczności znacznie ogranicza możliwość samoobsługi chorego, możliwość rehabilitacji i istotnie pogarsza jakość życia, a także spastyczność w skali Ashwortha > 3 - i/lub obecność bolesnych skurczów mięśniowych, powodująca trudności z samodzielnym poruszaniem się oraz wykonywaniem podstawowych czynności życiowych (mycie się, jedzenie, ubieranie), wiek powyżej 4 lat, rozwój tkanki podskórnej brzucha pozwalający na wszczepienie pompy, pozytywny wynik testu baklofenowego – próbnego dooponowego wstrzyknięcia baklofenu przez nakłucie lędźwiowe, zachowana drożność przestrzeni podpajęczynówkowej rdzenia kręgowego, stabilny stan ogólny chorego, dobre rokowanie poprawy funkcji ruchowych i możliwości samopielęgnacji po ograniczeniu spastyczności, dobra motywacja i gotowość współpracy z zespołem leczącym chorego i jego rodziny/opiekunów, miejsce zamieszkania chorego oddalone od ośrodka leczącego o mniej niż 200 km.²

Ocenia się, że około 70 % pacjentów ze wszczepioną pompą baklofenową odczuwa zmniejszenie natężenia dolegliwości i poprawę komfortu życia. Terapia pompą baklofenową ma duży wpływ na zmniejszenie spastyczności, zmniejszenie ruchów mimowolnych. Zdecydowanie redukuje dolegliwości bólowe, zmniejsza przykurcze mięśni, ułatwia wykonywanie takich funkcji jak poruszanie kończynami, chodzenie, poprawia funkcję pęcherza moczowego oraz ułatwia rehabilitację i możliwość samopielęgnacji. Poza tym u chorych dzieci mniejsze jest ryzyko, nierzadko spotykanego uszkodzenia stawu biodrowego przez zbytne napięcie mięśni.²

Aktualnie obowiązująca praktyka kliniczna

Leczenie spastyczności ma na celu, oprócz usprawnienia ruchowego, zapobieganie ciężkim powikłaniom, a także zmniejszenie dolegliwości bólowych i bolesnych skurczów mięśni oraz ułatwienie pielęgnacji chorego.²

Leczenie farmakologiczne miorelaksacyjne polega na stosowaniu środków farmakologicznych mających na celu obniżenie wzmożonego napięcia mięśniowego. Do grupy tej zalicza się głównie preparaty doustne tj. baklofen, benzodiazepiny (diazepam, klonazepam, tetrazepam, klorazepam dwupotasowy, ketazolam), dantrolen i tizanidynę, klonidynę, gabapentynę, lamotryginę, cytroheptadynę, tolperyzon. Ponadto, do grupy tej można zaliczyć baklofen podawany podpajęczynówkowo (dokanałowa infuzja) przy użyciu pompy.²

Leczenie farmakologiczne miejscowe domięśniowe polega na domięśniowym podaniu leku w celu wywołania odpowiedzi biologicznej. Zastosowanie tego typu leczenia zmniejsza jedynie napięcie wybranej grupy mięśni. W przypadku leczenia spastyczności domięśniowo najczęściej stosuje się m.in. toksynę botulinową typu A (BTX A), etanol oraz fenol.²

Leczenie chirurgiczne obejmuje szereg zabiegów chirurgicznych mających na celu obniżenie napięcia mięśniowego, do których możemy zaliczyć: rizotomię (przecięcie korzeni nerwowych), obwodową neurektomię (przecięcie nerwów obwodowych), techniki ośrodkowej ablacji jak: kordektomię (przecięcie rdzenia), miotomię (przecięcie mięśni) i procedury stereotaktyczne, wszczepianie stymulatorów mózdkowych i rdzeniowych.²

Elektroterapia to metoda terapeutyczna stosowana głównie w zaburzeniach układu ruchu, które przewiduje użycie prądów elektrycznych w celu redukcji objawów (m.in. bólu) i polepszenia sprawności fizycznej. Wśród metod można wyróżnić m.in. tonolizę, funkcjonalną elektrostymulację (FES), przezskórną elektrostymulację, stymulację rdzenia kręgowego oraz mózdku.²

Leczenie rehabilitacyjne spastyczności polega na stosowaniu szeregu metod nefarmakologicznych, które cechuje stymulacja i utrwalenie poprawy stanu zdrowia chorego. W przypadku rehabilitacji ruchowej terapia obejmuje głównie kinezyterapię (ćwiczenia ruchowe), fizjoterapię i terapię

zajęciową. Leczenie rehabilitacyjne jest niezbędnym dopełnieniem leczenia farmakologicznego, które może ułatwić uzyskanie pożądanego efektu terapeutycznego.²

Zgodnie ze zleceniem Ministra Zdrowia, kwalifikacja do leczenia pompą baklofenową będzie miała miejsce w przypadku nieskuteczności leczenia farmakologicznego tj. wyczerpania wszystkich możliwych opcji leczenia farmakologicznego.²

Na podstawie stanowisk ekspertów klinicznych ustalono, iż aktualnie obowiązującą praktyką kliniczną w II/III linii leczenia ciężkiej uogólnionej spastyczności pochodzenia zarówno mózgowego jak i rdzeniowego, poza leczeniem baklofenem podawanym dokanałowo w sposób ciągły za pośrednictwem pompy baklofenowej ITB (Intrathecal Baclofen) jest schemat postępowania obejmujący rehabilitację, zaopatrzenie w sprzęt ortopedyczny, specjalistyczne leczenie ambulatoryjne. Na podstawie stanowiska ekspertów klinicznych należy przyjąć, iż leczenie chirurgiczne jest rzadko stosowane w rutynowej praktyce klinicznej w leczeniu ciężkiej spastyczności i jest opcją terapeutyczną rozważaną w ostatniej linii leczenia, gdy wyczerpano już wszystkie inne dostępne metody leczenia.²

Opis wnioskowanego świadczenia

Opisanie świadczenia dotyczy „wszczepienia pompy baklofenowej w leczeniu spastyczności odpornej na leczenie farmakologiczne”.

Zgodnie z informacją przekazaną przez Urząd Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych (URPL) w obrocie na terytorium Polski znajdują się dwie implantowalne pompy infuzyjne do podawania baklofenu tj.: implantowalna, programowalna pompa infuzyjna Synchroned® II (wytwórca: Medtronic, Inc.; autoryzowany przedstawiciel: Medtronic B.V.; dystrybutor: Medtronic Poland Sp. z o.o.) oraz implantowalna pompa infuzyjna Archimedes™ (wytwórca: Codman Neuro Sciences SARL; dystrybutor: Johnson & Johnson Poland Sp. z o.o.).²

Zgodnie z informacją przekazaną przez URPL w Polsce zarejestrowany jest jeden preparat baklofenu podawanego dooponowo (ang. intrathecal baclofen) LioresalR Intrathecal – podmiot odpowiedzialny firma Novartis, dostępny w trzech dawkach. LioresalR Intrathecal jest wskazany do stosowania w leczeniu pacjentów z ciężką, przewlekłą spastycznością w przebiegu stwardnienia rozsianego, z urazami rdzenia kręgowego lub urazami pochodzenia mózgowego, których nie można skutecznie leczyć stosując leczenie standardowe. Podanie dawki próbnej, wszczepienie pompy infuzyjnej oraz zwiększenie dawki należy przeprowadzać w warunkach szpitalnych, w ośrodkach posiadających odpowiednie doświadczenie oraz pod nadzorem odpowiednio wykwalifikowanych lekarzy. Należy zapewnić natychmiastowy dostęp do oddziału intensywnej opieki medycznej ze względu na możliwość wystąpienia ciężkich lub zagrażających życiu działań niepożądanych produktu leczniczego.²

Obecny stan finansowania

Na listach leków refundowanych w leczeniu farmakologicznym miorelaksacyjnym dostępne są takie substancje czynne jak diazepam, klonazepam, metyloprednizolon, karbamazepina, gabapentyna, tizanidyna oraz baklofen podawany doustnie; w leczeniu farmakologicznym miejscowym - preparaty BTX-A, w leczeniu rehabilitacyjnym - kinezyterapia (ćwiczenia ruchowe) oraz fizjoterapia. Leczenie spastyczności z udziałem pompy baklofenowej do stycznia 2010 r. było finansowane w ramach indywidualnych zgód NFZ (tzw. „świadczenia za zgodą płatnika”). Według Narodowego Funduszu Zdrowia (NFZ) wszczepienie pompy baklofenowej zostało zrealizowane przez 12 ośrodków klinicznych w Polsce, na łączną kwotę 2,31 mln PLN. W ramach „świadczenia za zgodą płatnika” sfinansowano 129 świadczeń obejmujących „wszczepienie pompy baklofenowej”.

W chwili obecnej finansowaniem ze środków publicznych objęty jest jedynie koszt leku (baklofenu) oraz koszty zabiegu uzupełnienia pompy baklofenowej. Koszt leku finansowany jest w ramach leczenia szpitalnego. Według danych przesłanych przez NFZ w latach 2007 – I kw. 2009 koszt leku

stosowanego w uzupełnianiu pomp baklofenowych wyniósł: w 2007 – 297 tys. PLN, w 2008 – 590 tys. PLN, w I kw. 2009 – 59 tyś PLN Baklofen podawany podpajęczynówkowo sprowadzany jest w ramach tzw. importu finansowego: cena brutto baklofenu sprowadzonego z zagranicy preparatu (dane z kwietnia b.r.) wyniosła 388,80 PLN, a cena zarejestrowanego w Polsce preparatu baklofenu podawanego podpajęczynówkowo wyniosła 770,40 PLN netto.

Efektywność kliniczna

Celem analizy była ocena efektywności klinicznej wszczęcia pompy baklofenowej w leczeniu spastyczności odpornej na leczenie farmakologiczne.²

Populację stanowili chorzy z ciężką, przewlekłą trwającą co najmniej 12 miesięcy spastycznością kończyn, spastycznością w przebiegu CP, MS, SCI, BI, CVA (udary niedokrwienne), u których farmakologiczne leczenie spastyczności było nieskuteczne tj. leczenie po wykorzystaniu wszystkich możliwych terapeutycznych opcji farmakologicznych – II, III lub kolejne linie leczenia, spastycznością w skali Ashworth ≥ 3 i/lub obecnością bolesnych skurczów mięśniowych, powodującą trudności z samodzielnym poruszaniem się oraz wykonywaniem podstawowych czynności życiowych, wiek > 4 lata.²

Interwencją było leczenie pompą baklofenową: implantowana, programowalna pompa infuzyjna SynchronedR II, Medtronic lub implantowana pompa infuzyjna Archimedes™, Johnson & Johnson, wszczepiana podpowięziowo, cewnik umieszczony podpajęczynówkowo, zbiornik z baklofenem (LIORESALR); pompa baklofenowa wprowadzająca lek w sposób ciągły.²

Komparatory to interwencje stosowane w leczeniu spastyczności po nieskuteczności leczenia farmakologicznego.²

W wyniku wyszukiwania do raportu włączono 73 publikacji, w tym: 12 przeglądów systematycznych, 12 badań pierwotnych odnoszących się do skuteczności i bezpieczeństwa zastosowania pompy baklofenowej, 22 rekomendacje kliniczne, 17 doniesień dotyczących bezpieczeństwa, 2 CEA oraz 1 CBA, 7 rekomendacji finansowych.²

Odnalezione badania oceniające skuteczność i bezpieczeństwo zastosowania baklofenu podawanego dokanałowo przy użyciu pompy infuzyjnej, stanowiły próby kliniczne RCT jedynie w fazie testu baklofenowego. Większość z odnalezionych badań klinicznych stanowiły próby pretest/posttest, gdzie ocenę punktów końcowych przeprowadzano przed i po wszczęciu pompy baklofenowej. Do niniejszego przeglądu nie włączono badań, które znalazły się w analizie klinicznej (Walczak 2008, przedstawionej przez firmę Medtronic). Badania te nie spełniały kryteriów włączenia do niniejszego przeglądu literatury, a główną przyczyną wyłączenia wspomnianych badań (Dario 2002, Meythaler 1999, Meythaler 2001) była kwalifikacja pacjentów ze spastycznością trwającą > 6 miesięcy.²

W badaniach pierwotnych najczęściej ocenianą pompą baklofenową była pompa programowalna SynchronedR II (Medtronic). Zaledwie jedno badanie (Boviatsis 2005) zostało przeprowadzone z wykorzystaniem pompy pneumatycznej Archimedes™ (Johnson&Johnson). Należy stwierdzić, iż nie ma dowodów przemawiających na korzyść któregoś z systemów infuzji – ciągły, kompleksowy czy zaprogramowany bolus.²

W rozpatrywanej populacji docelowej, wszczęcie pompy baklofenowej skutkuje zmniejszeniem stopnia spastyczności w skali Ashworth od 1,48 pkt. (Ivanhoe 2006) do 3,1 (Guglielmino 2006), jak również zmniejszeniem częstości spazmów (skala SFS).²

Na podstawie odnalezionych wytycznych klinicznych należy stwierdzić, iż zastosowanie pompy baklofenowej jest rekomendowane w leczeniu spastyczności, w przypadku gdy spełnione są następujące warunki: zalecane jest rozpoczynanie leczenia spastyczności od metod nieinwazyjnych, a dopiero w drugiej kolejności w miarę potrzeby sięganie po metody inwazyjne, po niepowodzeniu

terapii doustnymi lekami lub BTX-A, gdy dawki leków doustnych nie przynoszą oczekiwanych skutków, a wywołują poważne działania niepożądane u pacjentów z przewlekłą spastycznością kończyn dolnych, konieczna jest odpowiednia selekcja pacjentów do terapii ITB i przeprowadzenie próby baklofenowej, szczególnie zalecane jest po urazach rdzenia kręgowego oraz w stwardnieniu rozsianym, przede wszystkim u pacjentów z spastycznością kończyn dolnych, w przypadku spastyczności powodującej: niewygodne pozycje, utrudnioną opiekę i pielęgnację, zakłócenia snu; zakłócenie chodu, uniemożliwienie samodzielności; ból. U dzieci, zalecane jest ścisłe monitorowanie wzrostu kręgosłupa; zabieg implantacji pompy musi być przeprowadzony przez doświadczony zespół dysponujący odpowiednim zapleczem i stałą, wykwalifikowaną opieką medyczną w wyspecjalizowanych ośrodkach, konieczne jest prowadzenie dalszych badań dotyczących oceny zastosowania pompy ITB w leczeniu spastyczności.²

Bezpieczeństwo stosowania

Ocena bezpieczeństwa na podstawie Charakterystyki Produktu Leczniczego (ChPL)³

Do najczęściej odnotowywanych działań niepożądanych związanych z lekiem należą: nudności, drgawki, wymioty, zaparcia, zawroty głowy, depresja, zatrzymanie moczu, ból głowy, bezsenność oraz hipotonia. Do częstych incydentów medycznych związanych z urządzeniem należą: przemieszczenia pompy i cewnika, zatkanie cewnika, złamanie cewnika, przebicie cewnika oraz awarie oprogramowania. Najczęściej występujące powikłania związane z procedurą wszczepienia pompy to: miejscowe nagromadzenie płynu surowiczego wokół pompy, wyciek płynu mózgowo-rdzeniowego, infekcja oraz rozejście się brzegów rany.²

Doświadczenie dotyczące stosowania u dzieci poniżej 6 lat jest ograniczone; u dzieci poniżej 4 lat, produkt nie jest zalecany do stosowania ze względu na brak danych dotyczących bezpieczeństwa stosowania; w toku badań klinicznych nie zaobserwowano szczególnych problemów u grupy chorych powyżej 65 lat; doświadczenia z zastosowaniem produktu leczniczego Lioresal w postaci tabletek pokazuje jednak, że w tej grupie wiekowej działania niepożądane mogą występować częściej, dlatego konieczne jest uważne monitorowanie pod kątem ewentualnych działań niepożądanych; skojarzenie produktu leczniczego Lioresal Intrathecal z morfiną spowodowało u jednego pacjenta spadek ciśnienia tętniczego krwi; w takich przypadkach nie można wykluczyć ryzyka zaburzeń OUN; należy pamiętać o zwiększonym ryzyku występowania tych zaburzeń u pacjentów przyjmujących jednocześnie opioidy lub benzodiazepiny.

Działania niepożądane związane z urządzeniem: przemieszczenie / zagięcie / pęknięcie (rozdarcie) cewnika, zakażenie w miejscu wszczepienia pompy, posocznica, nagromadzenie płynu surowiczego lub krwi w miejscu wszczepienia pompy z ryzykiem stanu zapalnego, nie działająca pompa, wyciek płynu mózgowo-rdzeniowego, przerwanie ciągłości skóry po dłuższym okresie po implantacji, przedawkowanie lub podanie zbyt małej dawki produktu leczniczego z powodu nieprawidłowego posługiwania się urządzeniem.

Podobne działania niepożądane podano w ulotce do produktu Archmides i Synchronomed II.²

Informacje z innych źródeł²

Firma Medtronic zmodyfikowała baterię stosowaną w pompach SynchroMed II, by zapobiec obniżaniu się sprawności baterii w pompach, które trafią na rynek w przyszłości. Pompy ze zmodyfikowaną baterią dostępne są na rynkach Europy, Afryki i Środkowego Wschodu od 11 kwietnia 2011 r. Medtronic szacuje, iż opisywanie nieprawidłowości w funkcjonowaniu pomp SynchroMed II mogą wystąpić w 76 (2,1%) z 3636 pomp wszczepionych pacjentom w Europie, Środkowym Wschodzie oraz w Afryce. W oparciu o analizy statystyczne dziewięciu zwróconych urządzeń, uszkodzenie pompy z powodu opisywanych problemów jest szacowane na 0,3% w okresie 5 lat po wszczepieniu.

Zgłoszono informacje kliniczne o wlewach do przestrzeni śródtkankowych. Zgłoszona „wypadkowość” wynosi 1 przypadek na 10,000 napełnień (0,0101%). Wśród przypadków zgłoszonych odnotowano 8 zgonów, 270 zdarzeń wymagających interwencji medycznej (obrażenia poważne lub zagrażające życiu) i 58 zdarzeń nie wymagających interwencji (brak obrażeń lub urazy mniej poważne). Dolegliwość skutków w 15 przypadkach jest nieznaną.

Efektywność kosztowa

W ramach analizy porównywano koszty leczenia standardowego (obejmującego rehabilitację, zaopatrzenie w sprzęt ortopedyczny, specjalistyczne leczenie ambulatoryjne) z ocenianą interwencją terapeutyczną, którą jest leczenie baklofenem podawanym dokanałowo w sposób ciągły za pośrednictwem pompy baklofenowej ITB (Intrathecal Baclofen) w połączeniu z terapią towarzyszącą (obejmującą rehabilitację, zaopatrzenie w sprzęt ortopedyczny, specjalistyczne leczenie ambulatoryjne) w leczeniu ciężkiej spastyczności (pochodzenia zarówno mózgowego jak i rdzeniowego), w przebiegu mózgowego porażenia dziecięcego (CP, cerebral palsy), stwardnienia rozsianego (MS, multiple sclerosis), urazów rdzenia kręgowego (SCI, spinal cord injury), ciężkiego uszkodzenia mózgu (TBI, traumatic brain injury) oraz udarów mózgu.²

Analizę przeprowadzono z perspektywy płatnika publicznego za usługi zdrowotne, Narodowego Funduszu Zdrowia. W związku z ograniczoną żywotnością baterii w pompach baklofenowych, w analizie przyjęto 7-letni oraz 14-letni horyzont czasowy, zakładając, że okres użytkowania programowalnej pompy baklofenowej (Synchromed II, firmy Medtronic) wynosi 7 lat, a pneumatycznej pompy baklofenowej (Archimedes, firmy Johnson&Johnson) 15 lat. Przy czym, horyzont czasowy zastosowany w analizie był jednakowy dla pomiaru kosztów jak i wyników zdrowotnych.²

W celu oceny zasobów, które są konieczne dla uzyskania odpowiedniego efektu klinicznego, przeprowadzono analizę kosztów-konsekwencji, która jest zestawieniem wyników zdrowotnych i kosztów.²

Analiza kosztów

Średni koszt przeprowadzenia testu baklofenowego u chorego kwalifikującego się do wszczęcia pompy baklofenowej równy jest 314,92 PLN.²

Koszt implantacji oraz usunięcia pompy baklofenowej²

Podana przez producenta cena pompy z rezerwuarem 20 ml lub 40 ml: programowalnej (Synchromed II, firmy Medtronic, której okres użytkowania wynosi 7 lat) wynosi ■ PLN, natomiast pompy pneumatycznej (Archimedes, firmy Johnson&Johnson, której okres użytkowania wynosi 15 lat) wynosi ■ PLN. Na podstawie danych kosztowych uzyskanych z Uniwersyteckiego Szpitala Dziecięcego w Krakowie przyjęto, iż koszt rzeczywisty hospitalizacji związanej z procedurą wszczęcia pompy baklofenowej w 2008 r., kształtował się na poziomie 7 700 PLN, w 2009 roku na poziomie 7 946 PLN, a w 2010 roku – 8 169 PLN. Zaktualizowany poziom wyceny o wskaźnik zmiany cen towarów i usług konsumpcyjnych w dziedzinie zdrowia w 2009 r., oraz 2010 r., daje koszt rzeczywisty hospitalizacji związanej z procedurą wszczęcia pompy baklofenowej na poziomie 8 168,90 PLN. Łączny koszt implantacji pompy baklofenowej w zależności od rodzaju pompy baklofenowej wszczętej pacjentowi może kształtować się od 35 516,72 PLN w przypadku pompy pneumatycznej (Archimedes, firmy Johnson & Johnson) do 38 625,00 PLN w odniesieniu do pompy programowalnej (Synchromed II, firmy Medtronic).

Koszty wizyt kontrolnych związanych z uzupełnianiem pompy baklofenowej²

Łączny koszt wizyt kontrolnych w I roku po wszczęciu pompy będzie kształtował się na poziomie 19 986,25 PLN, podczas gdy w kolejnych latach użytkowania pompy będzie wynosił 21 803,18 PLN. W kalkulacjach przeprowadzonych w ramach niniejszej analizy uwzględniono koszt jednostkowy wizyty na poziomie 561 PLN.

Wycena punktowa wizyty kontrolnej związanej z napełnieniem pompy baklofenowej na podstawie Zarządzenia Prezesa NFZ wynosi dla hospitalizacji 13 punktów (663 PLN), dla hospitalizacji planowej 12 punktów (612 PLN) i dla „leczenia jednego dnia” – 11 punktów (561 PLN).

Koszt wizyty kontrolnej nie uwzględnia kosztu samego leku. Koszt jednostkowy leku stosowanego do uzupełnienia pompy oraz zestawu do uzupełnienia leku oszacowano na podstawie ceny leku podanej przez producenta oraz średniej wielkości miesięcznego zużycia leku przypadającego na przeciętnego pacjenta. W kalkulacjach przeprowadzonych w ramach niniejszej analizy, uwzględniono miesięczny koszt leku (Lioresal Intrathecal 10mg/5ml - 1 amp. x 5 ml) na pacjenta na poziomie ■ PLN oraz miesięczny koszt zestawu do uzupełnienia leku ■ PLN. Łączny koszt miesięczny uzupełnienia zawartości pompy baklofenowej: koszt wizyty kontrolnej, koszt leku oraz zestawu do uzupełnienia leku kształtuje się na poziomie ■ PLN.

Koszty leczenia powikłań związanych z zastosowaniem pompy baklofenowej²

Na podstawie danych kosztowych uzyskanych z Uniwersyteckiego Szpitala Dziecięcego w Krakowie przyjęto, iż koszt rzeczywisty procedury usunięcia pompy baklofenowej w 2008 r., kształtował się na poziomie 4 000 PLN. Uśredniony dla populacji SCI, MS i CP koszt leczenia powikłań związanych z lekiem wyniósł na pacjenta 188,5 PLN. Koszt leczenia powikłań związanych z procedurą wszczepienia pompy baklofenowej wyniósł średnio 452 PLN na pacjenta. Koszt porady specjalistycznej w zakresie diagnostyki powikłań związanych z urządzeniem wynosi 5,6 PLN. Koszty powikłań skutkujących wymianą cewnika, oszacowano licząc koszty zabiegu wymiany cewnika oraz kosztu cewnika (cena z oferty cenowej dystrybutora pompy Archimedes), który wynosi 1 620 PLN. Całkowity koszt na pacjenta wyniósł 208,71 PLN. Koszt zabiegu wymiany pompy baklofenowej jest równy ok. 38 625 PLN, natomiast koszt usunięcia pompy to koszt implantacji pomniejszony o koszt urządzenia czyli ok. 4 000 PLN. Zestawienie kosztów leczenia powikłań terapii dokanałowym baklofenem związanych z działaniem leku, procedurą wszczepienia pompy oraz urządzeniem wyniesie łącznie w skali 3 lat ok. 4 848 PLN, natomiast w skali 1 roku prawdopodobnie będzie to koszt całkowity 1 616 PLN na pacjenta.

Koszty leczenia standardowego²

W oszacowaniu kosztów rehabilitacji spastyczności w Polsce wykorzystano dane kosztowe z opracowania Orlewska 2005. Bezpośrednie koszty związane z 5- miesięczną terapią pacjenta z zaawansowaną postacią stwardnienia rozsianego oszacowano na 6 010 PLN. W kalkulacji kosztów bezpośrednich uwzględniono m.in. koszty rehabilitacji, hospitalizacji, leków, konsultacji lekarskich i opieki w warunkach domowych. Największy udział w tej grupie kosztów stanowią koszty rehabilitacji (30,9%), które wynoszą 1 857,09 PLN w okresie 5 miesięcy, miesięczny koszt wyniesie 371 PLN, a roczny – 4 457 PLN. Średni roczny koszt rehabilitacji pacjenta wynosi 5 403,14 PLN. Ze względu na brak badań dotyczących zużycia zasobów związanych z ciężką spastycznością w przebiegu pozostałych z ocenianych jednostek chorobowych przyjęto założenie, że koszty rehabilitacji związane z leczeniem ciężkiej spastyczności o zróżnicowanej etiologii będą kształtowały się na takim samym poziomie.

Całkowity koszt leczenia ortopedycznego, polegającego na zaopatrzeniu w sprzęt ortopedyczny z perspektywy NFZ, wynosi 4 467 PLN (3 843 PLN – 5 900 PLN). Założono, że jest to jednorazowy koszt ponoszony przez płatnika publicznego w okresie 5-letniego horyzontu czasowego analizy zarówno w przypadku leczenia standardowego jak i leczenia towarzyszącego terapii z zastosowaniem pompy baklofenowej. Koszt roczny w limicie refundacji przypadającym na okres 5-6 lat wyniesie 893 PLN.

Całkowity koszt roczny wizyt w poradniach specjalistycznych przypadający na przeciętnego pacjenta kształtuje się na poziomie: 645,3 (607,5 -683,1) PLN.

Zestawienie kosztów - leczenie standardowe w porównaniu do leczenia ITB²

Koszt całkowity leczenia ITB w I roku po wszczepieniu pompy (przypadający na przeciętnego pacjenta) będzie kształtował się na poziomie 67 169,12 PLN w przypadku implantacji pompy programowalnej bądź 64 060,84 PLN w przypadku implantacji pompy pneumatycznej. Koszt całkowity zastosowania ITB (przypadający na przeciętnego pacjenta) w kolejnych latach po wszczepieniu pompy będzie wynosił 30 361,06 PLN. Natomiast, całkowity koszt leczenia standardowego w horyzoncie 1-roku czasu będzie wynosił 6 941,83 PLN. Koszty inkrementalne przypadające na przeciętnego pacjenta wynikające z zastąpienia leczenia standardowego terapią ITB przedstawiono w horyzoncie 1 roku po wszczepieniu pompy baklofenowej, wyniosą dla pompy programowalnej 60 227 PLN, a dla pompy pneumatycznej 57 119 PLN. Koszty inkrementalne związane z wprowadzeniem terapii ITB - w horyzoncie 7 lat wyniosą dla pompy programowalnej 200 743 PLN, a dla pompy pneumatycznej 169 075 PLN. Koszty inkrementalne związane z wprowadzeniem terapii ITB - w horyzoncie 14 lat wyniosą dla pompy programowalnej 401 485 PLN, a dla pompy pneumatycznej 361 569 PLN. Z uwagi na występujące różnice w koszcie jednostkowym pomiędzy pompą programowalną a pneumatyczną, należy rozważyć wariant ustalenia limitu ceny na niższym koszcie użytkowania rocznego ITB, a więc uwzględnić w analizie kosztów wariant zlimitowania ceny pompy programowalnej do ceny pompy pneumatycznej. Na podstawie kalkulacji przedstawionych poniżej można wnioskować, iż cena pompy programowalnej powinna zostać w znaczący sposób obniżona, aby była ona porównywalna z pompą pneumatyczną pod względem kosztu 1 roku użytkowania ITB. Wydaje się, iż powyższe wnioskowanie może być podstawą do obniżenia ceny w trakcie negocjacji z producentem.

Zestawienie kosztów - porównanie dotyczące cen pomp²

Cena pompy programowalnej wynosi ■■■ PLN, okres użytkowania 7 lat, koszt pompy w przeliczeniu na 1 rok używalności wyniesie ■■■ PLN, a przeliczenie niższego kosztu użytkowania rocznego pompy przez lata wyniesie ■■■ PLN. Cena pompy pneumatycznej wynosi ■■■ PLN, okres użytkowania 15 lat, koszt pompy w przeliczeniu na 1 rok używalności wyniesie ■■■ PLN, a przeliczenie niższego kosztu użytkowania rocznego pompy przez lata wyniesie ■■■ PLN.

Użyteczność²

W analizie wykorzystano wagi użyteczności pochodzące z dwóch źródeł: badania Sampson 2002 (skala Health Utilities Index) oraz de Lissovoy 2007 (kwestionariusza EuroQol-5D - European Quality of Life Scale – EQ 5D).

Wzrost użyteczności po zastosowaniu leczenia dokanałowym baklofenem (roczny), określony na podstawie badania de Lissovoy 2007 to 0,238 QALY.

W badaniu Sampson 2002 wyniki przedstawiono jako poprawę jakości życia określoną jako wzrost użyteczności po zastosowaniu leczenia dokanałowym baklofenem w I, II i III grupie pacjentów- odpowiednio 0,5, 0,27 i 0,43 QALY. Średni wzrost użyteczności po zastosowaniu leczenia dokanałowym baklofenem wyniesie dla wszystkich subpopulacji 0,4.

Wyniki analizy koszt-użyteczność²

Wyniki analizy użyteczności kosztów stosowania terapii baklofenem podawanym dokanałowo w sposób ciągły za pomocą pompy baklofenowej (ITB) wraz z leczeniem towarzyszącym w porównaniu do leczenia standardowego (LS) przedstawiono w 7-letnim oraz 14-letnim horyzoncie czasowym. Wyniki przedstawiono z perspektywy płatnika publicznego Narodowego Funduszu Zdrowia.

Badanie de Lissovoy 2007

Inkrementalny współczynnik kosztów-użyteczności (ICUR) w 7-letnim horyzoncie czasowym (w analizie podstawowej przy rocznej stopie dyskontowej: 3,5% dla efektów zdrowotnych oraz 5% dla kosztów) wynosi 118 906,24 PLN dla pompy programowalnej oraz 97 881,23 PLN dla pompy pneumatycznej. Efekt inkrementalny oszacowano na 1, 51 QALY. Natomiast, w 14-letnim horyzoncie

czasowym (w analizie podstawowej przy rocznej stopie dyskontowej: 3,5% dla efektów zdrowotnych oraz 5% dla kosztów) wynosi 63 597,39 PLN dla pompy programowalnej oraz 34 372,47 PLN dla pompy pneumatycznej. Efekt inkrementalny oszacowano na 2,69 QALY.

Badanie Sampson 2002

Inkrementalny współczynnik kosztów-użyteczności (ICUR) w 7-letnim horyzoncie czasowym (w analizie podstawowej przy rocznej stopie dyskontowej: 3,5% dla efektów zdrowotnych oraz 5% dla kosztów) wynosi 70 749,21 PLN dla pompy programowalnej oraz 58 239,33 PLN dla pompy pneumatycznej. Efekt inkrementalny oszacowano na 2,53 QALY. Natomiast, w 14-letnim horyzoncie czasowym (w analizie podstawowej przy rocznej stopie dyskontowej: 3,5% dla efektów zdrowotnych oraz 5% dla kosztów) wynosi 37 840,45 PLN dla pompy programowalnej oraz 20 451,62 PLN dla pompy pneumatycznej. Efekt inkrementalny oszacowano na 4,52 QALY.

Wpływ na budżet płatnika

Wielkość populacji docelowej przedstawiona przez Ministerstwo Zdrowia na poziomie 60-80 pacjentów rocznie wydaje się znacząco niedoszacowana, zwłaszcza w kontekście propozycji umieszczenia ocenianego świadczenia w katalogu świadczeń szpitalnych, gdzie kontrola nad restrykcyjnym kwalifikowaniem pacjenta w oparciu o precyzyjnie określone kryteria włączenia wydaje się mało możliwa w realizacji.²

Oszacowania ekspertów klinicznych, w zakresie wyznaczenia populacji docelowej, charakteryzują się bardzo dużą rozbieżnością, nie podano do nich źródła, co uniemożliwia ich weryfikację. Eksperti oszacowali populację (sumarycznie dla różnych wskazań) na 120 do 820 osób. Według pisma podmiotu odpowiedzialnego dla CP i SCI populacja wyniesie w I roku między 240 a 300 osób, natomiast według analiz przekazanych przez podmiot łącznie dla CP, MS i SCI na 1 873 osób. Według Ministerstwa Zdrowia osób chorych było 60-80. W związku z powyższym podjęto próbę oszacowania stopnia potrzeby klinicznej, a także wielkości populacji docelowej w ujęciu rocznym w oparciu o dostępne wskaźniki i dane epidemiologiczne.²

Oszacowania dotyczące stopnia potrzeby klinicznej w poszczególnych rozpoznaniach na podstawie dostępnych danych epidemiologicznych przeprowadzone przez AOTM wskazują, iż pełna populacja pacjentów kwalifikujących się do wszczepienia pompy baklofenowej wyniesie 12 605 osób.

Oszacowania dotyczące wielkości populacji docelowej w oparciu o subpopulacje w skali roku przeprowadzone przez AOTM wskazują, iż pełna populacja pacjentów kwalifikujących się do wszczepienia pompy baklofenowej wyniesie 683 osoby.

W analizie wpływu na budżet płatnika przyjęto 3 warianty analizy, po 3 scenariusze w każdym.²

W wariantcie I założono wszczepianie tylko pomp programowalnych, w cenie zbytu brutto: ■ PLN, o 7 letnim okresie użytkowania, w wariantcie II - wszczepianie tylko pomp pneumatycznych, w średniej cenie zbytu brutto: ■ PLN, o 15 letnim okresie użytkowania i w wariantcie III - wszczepienie obu pomp, w cenie zbytu brutto: ■ PLN (koszt jednego roku użytkowania).

Pozostałe założenia: horyzont czasowy – 5 lat, perspektywa – płatnik publiczny (NFZ), w pierwszym roku do leczenia kwalifikowani są pacjenci z populacji zastanej, w drugim i kolejnych latach pacjenci z populacji nowej oraz kontynuujący leczenie w liczbie pomniejszonej o 3% wskaźnik usunięcia pompy i 3% wskaźnik zgonów, w drugim i kolejnych latach liczba nowych pacjentów wchodzących do leczenia utrzymuje się na stałym poziomie.²

Prognozowana liczba pacjentów objęta leczeniem ITB w roku 2011 wyniesie dla scenariusza najbardziej prawdopodobnego 6302 i po 683 pacjentów w latach kolejnych aż do 2015 roku. Dla scenariusza minimalnego liczba pacjentów od roku 2011 i odpowiednio w latach kolejnych wyniesie 3151 i po 341 pacjentów w latach kolejnych aż do 2015 roku. Dla scenariusza

maksymalnego liczba pacjentów od roku 2011 i odpowiednio w latach kolejnych wyniesie 12605 i po 683 pacjentów w latach kolejnych aż do 2015 roku. ²

Wariant I²

Szacowane roczne wydatki z budżetu Narodowego Funduszu Zdrowia na leczenie pacjentów z ciężką, uogólnioną, oporną na leczenie farmakologiczne spastycznością wyniosłyby w scenariuszu najbardziej prawdopodobnym 423,3 mln PLN w pierwszym roku oraz 225,7 mln PLN w drugim roku, w scenariuszu minimalnym - 211,7 mln PLN w pierwszym roku oraz 112,9 mln PLN w drugim roku, w scenariuszu maksymalnym - 846,6 mln PLN w pierwszym roku oraz 405,6 mln PLN w drugim roku. Dodatkowe koszty wynikające z zastąpienia terapii standardowej w populacji docelowej przez leczenie baklofenem podawanym dokanałowo za pośrednictwem pompy infuzyjnej najwyższe są w scenariuszu najbardziej prawdopodobnym w pierwszym roku (379,6 mln PLN), ze względu na dużą populację zastaną i wyższe koszty leczenia w pierwszym roku w związku z procedurą wszczepienia. W drugim roku wydatki te są już o ponad połowę niższe (179,8 mln PLN) i w kolejnych latach przyrastają w stosunkowo niewielkim stopniu. W scenariuszu minimalnym dodatkowe koszty najwyższe są w pierwszym roku (189,8 mln PLN) ze względu na dużą populację zastaną i wyższe koszty leczenia w pierwszym roku w związku z procedurą wszczepienia. W drugim roku wydatki te są już o ponad połowę niższe (89,9 mln PLN) i w kolejnych latach przyrastają stosunkowo niewiele. W scenariuszu maksymalnym najwyższe są w pierwszym roku (759,1 mln PLN), ze względu na dużą populację zastaną i wyższe koszty leczenia w pierwszym roku w związku z procedurą wszczepienia. W drugim roku wydatki te są już o ponad połowę niższe (318,6 mln PLN) i w kolejnych latach przyrastają stosunkowo niewiele.

Wariant II²

Szacowane roczne wydatki z budżetu Narodowego Funduszu Zdrowia na leczenie pacjentów z ciężką, uogólnioną, oporną na leczenie farmakologiczne spastycznością wyniosłyby 403,7 mln PLN w scenariuszu najbardziej prawdopodobnym w pierwszym roku oraz 223,6 mln PLN w drugim roku, w scenariuszu minimalnym - 201,9 mln PLN w pierwszym roku oraz 111,8 mln PLN w drugim roku, w scenariuszu maksymalnym - 807,5 mln PLN w pierwszym roku oraz 403,5 mln PLN w drugim roku. Dodatkowe koszty wynikające z zastąpienia terapii standardowej w populacji docelowej przez leczenie baklofenem podawanym dokanałowo za pośrednictwem pompy infuzyjnej w scenariuszu najbardziej prawdopodobnym najwyższe są w pierwszym roku (360,0 mln PLN) ze względu na dużą populację zastaną i wyższe koszty leczenia w pierwszym roku w związku z procedurą wszczepienia. W drugim roku wydatki te są już o ponad połowę niższe (177,7 mln PLN) i w kolejnych latach przyrastają stosunkowo niewiele. W scenariuszu minimalnym najwyższe są w pierwszym roku (180,0 mln PLN) ze względu na dużą populację zastaną i wyższe koszty leczenia w pierwszym roku w związku z procedurą wszczepienia. W drugim roku wydatki te są już o ponad połowę niższe (88,9 mln PLN) i w kolejnych latach przyrastają stosunkowo nieznacznie. W scenariuszu maksymalnym najwyższe są w pierwszym roku (720,0 mln PLN) ze względu na dużą populację zastaną i wyższe koszty leczenia w pierwszym roku w związku z procedurą wszczepienia. W drugim roku wydatki te są już o ponad połowę niższe (316,5 mln PLN) i w kolejnych latach różnią się nieznacznie.

Wariant III²

W tym wariantcie przyjęto założenie, iż cena pompy programowalnej zostanie ustalona w efekcie negocjacji na poziomie zrównującym koszt jednego roku użytkowania z pompą pneumatyczną, z uwzględnieniem różnego czasu ich użytkowania.

Szacowane roczne wydatki z budżetu Narodowego Funduszu Zdrowia na leczenie pacjentów z ciężką, uogólnioną, oporną na leczenie farmakologiczne spastycznością wyniosłyby w scenariuszu najbardziej prawdopodobnym 311,8 mln PLN w pierwszym roku oraz 213,6 mln PLN w drugim roku, w scenariuszu minimalnym - 155,9 mln PLN w pierwszym roku oraz 106,8 mln PLN w drugim roku, w scenariuszu maksymalnym - 623,6 mln PLN w pierwszym roku oraz 393,5 mln PLN w drugim roku.

Dodatkowe koszty wynikające z zastąpienia terapii standardowej w populacji docelowej przez leczenie baklofenem podawanym dokanałowo za pośrednictwem pompy infuzyjnej w scenariuszu najbardziej prawdopodobnym najwyższe są w pierwszym roku (268,1 mln PLN) ze względu na dużą populację zastaną i wyższe koszty leczenia w pierwszym roku w związku z procedurą wszczepienia. W drugim roku wydatki te są już znacznie niższe (167,8 mln PLN) i w kolejnych latach przyrastają stosunkowo niewiele. W scenariuszu minimalnym najwyższe są w pierwszym roku (134,0 mln PLN) ze względu na dużą populację zastaną i wyższe koszty leczenia w pierwszym roku w związku z procedurą wszczepienia. W drugim roku wydatki te są już znacznie niższe (83,9 mln PLN) i w kolejnych latach przyrastają stosunkowo niewiele. W scenariuszu maksymalnym najwyższe są w pierwszym roku (536,1 mln PLN) ze względu na dużą populację zastaną i wyższe koszty leczenia w pierwszym roku w związku z procedurą wszczepienia. W drugim roku wydatki te są już znacznie niższe (306,5 mln PLN) i w kolejnych latach różnią się nieznacznie.

Omówienie rekomendacji wydawanych w innych krajach w odniesieniu do ocenianej technologii

Rekomendacje kliniczne

Odnaleziono 20 następujących rekomendacji klinicznych odnoszących się do stosowania baklofenu w leczeniu spastyczności: Scottish Intercollegiate Guidelines Network (SIGN), Szkocja 2010; European Working group for Spasticity in Children, 2010; American Academy of Neurology (AAN), Kanada, 2010; The Royal Children's Hospital Melbourne, Australia, 2010; Australian Family Physician, Australia, 2010; Arbeitsgemeinschaft der Wissenschaftlichen Medizinischen Fachgesellschaften (AWMF), Niemcy 2010; Agence Francaise de Securite Sanitaire des Produits de Sante (AFSSAPS), Francja, 2009; National Public Health Service for Wales, 2009; Deutschen Gesellschaft für Neurologie, Niemcy, 2008; The British Pain Society, UK, 2008; AWMF, Niemcy, 2008; Royal Collage of Physician, UK, 2008; Therapy Consensus Group (MSTCG) of the German Multiple Sclerosis Society, Niemcy, 2006; Consensus Panel, USA, 2006; New Zealand Guidelines Group (NZGG), Nowa Zelandia, 2006; Buckinghamshire Hospitals National Health Service, UK, 2005; Oncology Nursing Society (ONS), USA, 2004; American Academy of Pediatrics, USA, 2004; Royal College of Physicians/The National Institute for Health and Clinical Excellence (RCP/NICE), UK 2004; Australian Safety and Efficacy Register of New Interventional Procedures - Surgical (ASERNIP-S), Australia, 2003; Veterans Health Administration, Department of Defense, USA, 2003; Alberta Heritage Foundation For Medical Research, Kanada, 1997.

Zgodnie z rekomendacjami baklofen może być stosowany w leczeniu spastyczności lub dystonii u pacjentów z mózgowym porażeniem dziecięcym oraz schorzeniami pokrewnymi, z nabytym uszkodzeniem mózgu, w stwardnieniu rozsianym, po urazach rdzenia kręgowego. Baklofen podawany dokanałowo może stanowić skuteczną terapię w ciężkiej odpornej spastyczności w przypadku niepowodzenia innych metod terapeutycznych lub gdy pojawiają się niedopuszczalne działania niepożądane w przypadku stosowania terapii doustnej. W przypadku podjęcia decyzji o leczeniu baklofenem podawanym dokanałowo wymagany jest odpowiedni zespół specjalistów i infrastruktury, niezbędnych do wprowadzenia cewników i wszczepienia pompy infuzyjnej. Rekomendacje zalecają prowadzenie dalszych badań nad baklofenem podawanym dokanałowo w ciężkiej spastyczności.

Rekomendacje dotyczące finansowania ze środków publicznych

Odnaleziono osiem następujących rekomendacji finansowych, odnoszących się do finansowania baklofenu ze środków publicznych: AETNA, USA, 2011, wskazanie: spastyczność oraz MS; Tufts Health Plan, USA, 2011; Pharmacology and Therapeutics Advisory Committee (PTAC), 2009; Instituto de Efectividad Clínica y Sanitaria, Argentyna, 2009; Ontario Health Technology Advisory Committee (OHTAC), Kanada, 2005; Agencia De Evaluación De Tecnologías Sanitarias De Andalucía, Hiszpania, 2000; CEDIT, Francja, 1991.

Argumentacja dla finansowania baklofenu jest analogiczna do wymienionej w rekomendacjach klinicznych.

Zgodnie z informacjami przekazanymi przez wytwórcę pompy baklofenowej Synchroned IIR, firmę Medtronic, wszczęcie pompy baklofenowej w leczeniu spastyczności jest finansowane ze środków publicznych w następujących krajach europejskich, jak: Włochy, Niemcy, Francja, Słowacja, Czechy, Hiszpania, Austria, Szwajcaria, Wielka Brytania, Belgia.²

W krajach, w których podstawę finansowania ze środków publicznych jest system DRG (Diagnostic Related Groups; np. Niemcy, Francja), płatnik rozróżnia trzy poziomy refundacji hospitalizacji w zależności od stopnia zaawansowania leczenia: hospitalizacja w celu przeprowadzenia testu baklofenowego, hospitalizacja w celu implantacji lub wymiany pompy baklofenowej, uzupełnienie pompy baklofenowej.²

Podstawa przygotowania rekomendacji

Rekomendacja została przygotowana na podstawie zlecenia z dnia 15 listopada 2010 r. Ministra Zdrowia (znak pisma: MZ-OZG-72-22632-4/AKR/10) oraz pism: z dnia 17 grudnia 2010 r. (znak pisma: MZ-OZG-73-23149-1/AKR/10), z dnia 15 lutego 2011 r. (znak pisma: MZ-OZG-73-23149-2/AKR/11), z dnia 18 sierpnia 2011 r. (znak pisma: MZ-OZG-73-25362-1/JC/11), z dnia 22 sierpnia 2011 r. (znak pisma: MZ-OZG-73-25362-2/JC/11), z dnia 26 sierpnia 2011 r. (znak pisma: MZ-OZG-73-25362-4/JC/11) oraz z dnia 29 sierpnia 2011 r. (znak pisma: MZ-OZG-73-25362-5/JC/11) odnośnie przygotowania rekomendacji Prezesa Agencji w sprawie zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej „wszczęcie pompy baklofenowej w leczeniu spastyczności odpornej na leczenie farmakologiczne” jako świadczenia gwarantowanego, na podstawie art. 31c ust. 1 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych oraz po uzyskaniu stanowiska Rady Konsultacyjnej nr 81/2011 z dnia 19 września 2011r. w sprawie zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej „Wszczęcie pompy baklofenowej w leczeniu spastyczności odpornej na leczenie farmakologiczne” jako świadczenia gwarantowanego.

Piśmiennictwo

1. Stanowisko Rady Konsultacyjnej nr 81/2011 z dnia 19 września 2011r. w sprawie zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej „Wszczęcie pompy baklofenowej w leczeniu spastyczności odpornej na leczenie farmakologiczne” jako świadczenia gwarantowanego.
2. Raport AOTM–DS–DKTM-0431-15-2010, Wszczęcie pompy baklofenowej w leczeniu spastyczności odpornej na leczenie farmakologiczne Raport skrócony, 2011.
3. Charakterystyka produktu leczniczego.