



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 31/2012 z dnia 11 czerwca 2012 r.
w sprawie zasadności kwalifikacji świadczenia opieki zdrowotnej
„Mechaniczne wspomaganie serca pompami implantowalnymi
najnowszej generacji – identyfikowanymi procedurami
wysokospecjalistycznymi: 13.1 do 13.5” jako świadczenia
gwarantowanego

Rada Przejrzystości uważa za niezasadne zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „Mechaniczne wspomaganie serca pompami implantowalnymi najnowszej generacji – identyfikowanymi procedurami wysokospecjalistycznymi: 13.1 do 13.5” jako świadczenia gwarantowanego.

Uzasadnienie

Proponowane świadczenie jest bardzo kosztowne. Tym samym nie można zapewnić każdemu pacjentowi w Polsce równego prawa do korzystania z proponowanej technologii medycznej.

Przedmiot zlecenia

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczące przygotowania rekomendacji Prezesa AOTM w sprawie zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej „Mechaniczne wspomaganie serca pompami implantowalnymi najnowszej generacji”, identyfikowanymi procedurami wysokospecjalistycznymi: 13.1 do 13.5, jako świadczenia gwarantowanego na podstawie art. 31c Ustawy, wpłynęło do Agencji 10 lutego 2011 r., pismem znak: MZ-PZ-TSZ-443-5464-48/SP/11. W dniu 13 września 2011 roku, pismem MZ-PZ-TSZ-443-5464-58/SP/11 Minister Zdrowia, przesłał modyfikację treści pisma zlecającego oraz karty problemu zdrowotnego, stanowiącą przedmiot niniejszej oceny.

Problem zdrowotny

Niewydolność serca (HF; identyfikowana kodem ICD - 10: I50) jest zespołem, w którym chory ma objawy kliniczne, odczuwa duszność w spoczynku lub podczas wysiłku i/lub zmęczenie, ma objawy retencji płynów, takie jak zastój w krążeniu płucnym lub obrzęk wokół kostek, a obiektywne dane wskazują na istnienie nieprawidłowości budowy i czynności serca w spoczynku. Ciężka niewydolność serca dotyczy chorych z istotnymi objawami klinicznymi występującymi w spoczynku, wymagającymi częstych interwencji lekarskich i jest opisywana, jako IV klasa w skali NYHA lub faza D w klasyfikacji wg ACC/AHA.

Niewydolność serca lub bezobjawowa dysfunkcja komór występuje u ok. 4% populacji. Częstość występowania waha się między 2, a 3%, ale gwałtownie wzrasta w okolicy 75. roku życia, tak że częstość HF w grupie 70- i 80-latków wynosi 10–20%. Około 10-20% pacjentów



doświadcza ciężkiej HF. Z szacunków rejestru POLKARD wynika, że w Polsce na HF choruje 500–750 tys. pacjentów.

Rokowanie w niewydolności serca jest złe. Przeciętnie 50% chorych umiera w ciągu 4 lat. 40% chorych przyjmowanych do szpitala umiera lub jest ponownie hospitalizowanych w okresie roku. W przypadku ciężkiej HF śmiertelność sięga 20-50% w ciągu pierwszego roku.

Początkowe leczenie, jeżeli jest możliwe, ma na celu usunięcie przyczyn niewydolności serca, takich jak nadciśnienie tętnicze, choroba wieńcowa i/lub choroby zastawek. Następnie pacjenci powinni być leczeni za pomocą modyfikacji stylu życia, jak zaprzestanie palenia tytoniu, ograniczenie sodu oraz zmniejszenie masy ciała w przypadku nadwagi. Farmakoterapię rozpoczyna się od diuretyków w celu kontroli zatrzymywanych płynów, inhibitorów enzymu konwertującego angiotensynę (ACEI), blokerów receptora angiotensyny, które wpływają korzystnie na hemodynamikę oraz β -adrenolityków, działających protekcyjnie. U pacjentów niereagujących na leczenie farmakologiczne, opornych na leczenie, złagodzić objawy i poprawić hemodynamikę mogą leki inotropowe i rozszerzające naczynia (wazodylatacyjne), które wymagają pobytu chorego w szpitalu pod stałą kontrolą. Można także zastosować ultrafiltrację. Jeśli nadal nie można opanować sytuacji, pozostaje transplantacja i mechaniczne wspomaganie krążenia. Przeszczepienie serca jest złotym standardem leczenia schyłkowej niewydolności krążenia, jednak w związku z kilkakrotnie wyższym zapotrzebowaniem na organy w stosunku do dawców, wielu chorych umiera oczekując na przeszczep. Mechaniczne urządzenia wspomagające krążenie są zaprojektowane, aby wspierać pracę lewej i / lub prawej komory serca. Istnieje wiele różnych typów mechanicznego wspomaganie, które są przeznaczone do krótkotrwałego użytku, jako pomost do wyzdrowienia czy transplantacji, albo do długotrwałego stosowania w terapii docelowej, gdy pacjent nie kwalifikuje się do transplantacji.

Opis ocenianego świadczenia

Przedmiotem niniejszej oceny jest kwalifikacja świadczenia opieki zdrowotnej „Mechaniczne wspomaganie serca pompami implantowanymi najnowszej generacji”, identyfikowanymi procedurami wysokospecjalistycznymi: 13.1 do 13.5, jako świadczenie gwarantowane z zakresu świadczeń wysokospecjalistycznych.

Świadczenie wysokospecjalistyczne, finansowane ze środków publicznych, pozostające w dyspozycji MZ, „Mechaniczne wspomaganie serca pompami implantowanymi najnowszej generacji” obejmuje: ocenę kliniczną, wykonanie niezbędnych badań specjalistycznych i kwalifikację pacjenta > 40 kg wagi, data do zastosowania mechanicznego wspomaganie krążenia do 24 h przed zabiegiem; przygotowanie pacjenta do chwili przekazania na blok operacyjny, z zastosowaniem koniecznych produktów leczniczych, wyrobów medycznych i środków pomocniczych; przygotowanie pacjenta do zabiegu od chwili przekazania na blok operacyjny; znieczulenie ogólne; krążenie pozaustrojowe; wykonanie zabiegu wszczepienia systemu pomp implantowanych najnowszej generacji, z zastosowaniem koniecznych produktów leczniczych, wyrobów medycznych i środków pomocniczych; intensywną opiekę pooperacyjną w warunkach oddziału intensywnej terapii; badania specjalistyczne mające na celu ocenę stanu pacjenta podczas wspomaganie oraz pozwalające na wybór trybu zakończenia wspomaganie (planowe wszczepienie układu wspomaganie lub przeszczepienie serca); zakończenie świadczenia – wykonanie zabiegu wszczepienia układu wspomaganie lub rozpoczęcie procedury przeszczepienia serca; ocenę wyniku i raportowanie do Centrum Monitorowania Jakości w Ochronie Zdrowia oraz do Krajowego Rejestru Operacji Kardiochirurgicznych według zasad określonych przez Zleceniodawcę.

Prowadzenie leczenia (zryczałtowane) po wypisaniu ze szpitala w trakcie wspomaganie serca w warunkach ambulatoryjnych (domowych), zostanie objęte finansowaniem ze środków publicznych, będących w dyspozycji NFZ.

Procedurę „mechanicznego wspomaganie serca pompami implantowanymi najnowszej generacji” mogą wykonywać ośrodki kardiochirurgiczne z co najmniej dwuletnim doświadczeniem w mechanicznym wspomaganie serca posiadające przeszkolony personel zalecany przez producenta pomp implantowanych najnowszej generacji.

Alternatywne świadczenia

Świadczenia wysokospecjalistyczne nr 12 „Mechaniczne, pozaustrojowe wspomaganie serca sztucznymi komorami”: Aktualnie w Polsce jedynym dostępnym dla pacjentów > 40 kg, systemem wspomaganie serca za pomocą pomp zewnątrzustrojowych jest pulsacyjny system POLCAS. Składa się on z poliuretanowych protez serca pozaustrojowych POLVAD oraz jednostki napędowej POLPDU. Wspomaganie mechaniczne serca może być prowadzone jako wspomaganie jedno (LVAD, RVAD) lub dwu-komorowe (BIVAD) w zależności od stanu klinicznego.

Interwencjami alternatywnymi dla ocenianego świadczenia opieki zdrowotnej, są również systemy mechanicznego wspomaganie serca wcześniejszych generacji VAD (I i II), które w chwili obecnej nie są finansowane ze środków publicznych. Na świecie najczęściej stosowaną wszczepialną pompą VAD.

Leczenie wspomagające w postaci leczenia farmakologicznego oraz innych interwencji medycznych finansowane jest w chwili obecnej w ramach zakresu finansowania świadczeń „Leczenie szpitalne”. W chwili obecnej leczenie szpitalne pacjentów z zaawansowaną niewydolnością krążenia odbywa się w ramach jednorodnej grupy pacjentów E52, finansowanej jest ze środków publicznych, będącej w dyspozycji NFZ. Zgodnie z charakterystyką grup, rozliczenie hospitalizacji grupą E52 wymaga wskazania procedury z listy procedur E52 w tym wszczepienie balonu pulsacyjnego, hemodializa, ciągłe leczenie nerko zastępcze, 24-godzinny dożylny wlew agonistów receptorów beta-adrenergicznych, 24- godzinny dożylny wlew - innych leków inotropowo dodatnich oraz 24-godzinny dożylny wlew leków wazodilatacyjnych. W 2011 roku odnotowano 11 312 wystąpień grupy E52 we wskazaniach: niewydolność serca zastoinowa, niewydolność serca lewokomorowa, niewydolność serca, nie określona, wstrząs kardiogeny.

Skuteczność kliniczna

Wyniki i wnioski przedstawione zarówno w odnalezionych wytycznych klinicznych, przeglądach systematycznych, rekomendacjach finansowych dotyczących oceny zastosowania wewnątrzustrojowego wspomaganie serca przy użyciu systemów VAD III generacji, jak i w ramach niniejszego raportu skróconego, opierają się na wynikach nielicznych badań klinicznych stanowiących dowody o niskiej wiarygodności. Próby kliniczne z retrospektywną, bądź wirtualną grupą kontrolną, obejmują niejednorodne grupy pacjentów, a czas obserwacji wydaje się zbyt krótki, by ocenić długotrwałe wyniki, zwłaszcza dotyczące bezpieczeństwa terapii.

We wszystkich odnalezionych badaniach klinicznych, włączonych do przeglądu systematycznego przeprowadzonego w ramach oceny technologii medycznej, mechaniczne wspomaganie serca zostało zastosowane u pacjentów ze schyłkową niewydolnością serca, jako pomost do transplantacji (BTT).

W świetle wyników odnalezionych przeglądów systematycznych, pompy HVAD® firmy HeartWare są skuteczną i względnie bezpieczną interwencją pozwalającą chorym ze

schyłkową niewydolnością serca doczekać przeszczepu serca. Należy mieć jednak na uwadze, iż wnioski te opierają się na opublikowanych wynikach 2 serii przypadków oraz 3 badaniach retrospektywnych dotyczących pomp HeartWare. Należy również mieć na uwadze, iż w świetle wniosków płynących z odnalezionych przeglądów, incydenty medyczne są możliwe i mają charakter ciężki: m.in. infekcje, w tym sepsa, krwawienia, arytmia, hemoliza, wysięk opłucnej, zapalenie płuc, wymiana urządzenia, zaburzenia czynności nerek, niewydolność prawej komory serca, incydenty mózgowo. W porównaniu z optymalną farmakoterapią, HVAD charakteryzują się dłuższym przeżyciem, a w porównaniu z pompami HeartMate II – niższym ryzykiem infekcji. Nie wykazano różnic w wynikach potransplantacyjnych u chorych wspomaganych wcześniej HVAD oraz tych bez wspomaganie.

W wyniku przeprowadzonego, w ramach niniejszej oceny technologii lekowej, przeglądu systematycznego, wszystkie odnalezione badania stanowiły próby kliniczne bez randomizacji, jak również nie odnaleziono badań z równoległą, prospektywną grupą kontrolną. Do przeglądu zostały włączone publikacje, których przedmiotem oceny były zarówno systemy wspomaganie HVAD®, Incor®, jak również DuraHeart™. Pacjenci, u których przeprowadzono zabieg implantacji VAD najnowszej generacji, stanowili populację chorych ze schyłkowa niewydolnością serca oczekujący na przeszczep serca (BTT).

W żadnym z odnalezionych badań oceniających zastosowanie mechanicznego wspomaganie serca pompami implantowanymi najnowszej generacji w porównaniu do interwencji stosowanych w schyłkowej niewydolności serca, różnice między analizowanymi grupami, w przypadku oceny powodzenia terapii zastosowania wspomaganie VAD III generacji, definiowanej jako: przeżycie z wszczepionym VAD, przeżycie zakończone transplantacją serca, usunięcie pompy związane z regeneracją mięśnia sercowego, nie były istotne statystycznie, z wyjątkiem różnic obserwowanych między grupą pacjentów z wszczepionym HVAD®, a wirtualną grupą modelowaną pod względem ww. punktu końcowego, na korzyść systemu HVAD®.

Jednoroczne przeżycie w populacji poddanej wspomaganie przy użyciu pomp VAD III generacji wyniosło od 82-89% do 91%. W grupach poddawanych wspomaganie pompami VAD I generacji, 1-roczone przeżycie wynosiło 71%, natomiast w przypadku pomp II generacji wyniosło kolejno 81%, 86%, oraz 88% (w zależności od badania).

Na podstawie wyników zebranych w ramach badania ADVANCE, u pacjentów z wszczepionym HVAD® obserwowano poprawę jakości życia w stosunku do stanu przed implantacją HVAD®. Poprawę jakości życia obserwowano zarówno w przypadków pomiarów wykonanych za pomocą kwestionariusza KCCQ, jak również EQ-5D.

Bezpieczeństwo stosowania

W badaniach oceniających zastosowanie pomp HVAD®, gdzie w przypadku oceny bezpieczeństwa nie przeprowadzono porównania z grupą kontrolną, do najczęściej raportowanych zdarzeń niepożądanych należały: zaburzenia oddychania, krwawienia wymagające ponownego zabiegu chirurgicznego w tym krwawienia do przewodu pokarmowego, niewydolność prawej komory serca, arytmie komorowe, infekcje w miejscu ujęcia przewodu u zasilającego pompy HVAD®, infekcje nie związane z wyrobem medycznym, wysięk opłucnej, zaburzenia czynności nerek oraz posocznica. Jednocześnie główną przyczyną zgonów był krwotoczny udar mózgu, niewydolność wątroby, niewydolność układu krążenia, niewydolność wielonarządowa, prawo-komorowa niewydolność serca oraz posocznica.

W badaniach oceniających zastosowanie pomp Incor® oraz DuraHeart™ w przypadku pomp I i II generacji częściej obserwowano występowanie zaburzeń krzepnięcia i krwawienia oraz

zatoru mózgowego. Natomiast w przypadku zakażeń rany i infekcji mniejszą częstotliwość zdarzeń przypadającą na 1 pacjenta w roku w grupie pacjentów z wszczepioną pompą III generacji obserwowano w porównaniu do pomp I generacji. Główną przyczyną zgonów (25%) była posocznica, krwawienia wewnątrzczaszkowe, samobójstwo, niewydolność wielonarządowa oraz zakrzepica VAD. W badaniu Garatti 2008 zarówno w przypadku pomp o ciągłym przepływie, jak i przepływie pulsacyjnym, główną przyczyną zgonów była przede wszystkim niewydolność wielonarządowa oraz krwawienia wewnątrzczaszkowe.

Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

Na podstawie jedynej odnalezionej analizy ekonomicznej dotyczącej stosowania HVAD, jako DT w schyłkowej niewydolności serca, można stwierdzić, iż technologia ta jest opłacalna kosztowo w warunkach brytyjskich (£19 500 za QALY). Należy jednak mieć na uwadze poważne ograniczenia analizy, które z dużym prawdopodobieństwem mogły znacząco zaniżyć wysokość współczynnika ICER.

Wpływ na budżet płatnika publicznego

Całkowite koszty dla płatników publicznych zakwalifikowania świadczenia Mechaniczne wspomaganie serca pompami implantowalnymi najnowszej generacji jako świadczenia gwarantowanego, finansowanego ze środków publicznych, są jednocześnie kosztami inkrementalnymi. Przy założeniu, że w kolejnych trzech latach do świadczenia będzie kwalifikowanych kolejno 15, 20, 25 pacjentów, w I roku finansowania, nakłady potrzebne na realizację przedmiotowego świadczenia prawdopodobnie będą się kształtować na poziomie 12 mln PLN (w tym 8,5 mln PLN z perspektywy MZ i 3,5 mln PLN z perspektywy NFZ), w II roku 17,2 mln (w tym 11,2 mln PLN z perspektywy MZ i 6 mln PLN z perspektywy NFZ), w III roku: 21,8 mln (w tym 14,4 mln PLN z perspektywy MZ i 7,4 mln PLN z perspektywy NFZ).

Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianego świadczenia

Na podstawie odnalezionych wytycznych klinicznych można stwierdzić, iż należy rozważyć mechaniczne wspomaganie pracy serca u pacjentów oczekujących na przeszczep serca, których stan ulega pogorszeniu czy też istnieje ryzyko, iż nie doczekają oni do przeszczepu (BTT). Rekomenduje się rozważenie mechanicznego wspomaganie pracy serca również u pacjentów z przeciwwskazaniami do przeszczepu serca, u których jednak mogą one zniknąć za pośrednictwem zastosowania mechanicznego wspomaganie pracy serca (BTR). Wspomaganie hemodynamiczne z użyciem LVAD może zapobiec pogorszeniu i poprawić stan kliniczny przed zabiegiem przeszczepu oraz zmniejszyć śmiertelność chorych z ciężkim ostrym zapaleniem mięśnia sercowego. Niemniej jednak podczas przewlekłego stosowania wzrasta ryzyko powikłań, takich jak zakażenie czy zatory obwodowe. Rekomenduje się rozważenie krótkookresowego mechanicznego wspomaganie pracy serca u pacjentów z gwałtownie postępującą niewydolnością serca, w celu zyskania czasu na ocenę możliwości działania długookresowego. Rekomenduje się rozważenie docelowego mechanicznego wspomaganie pracy serca u wąsko wyselekcjonowanych pacjentów niekwalifikujących się do przeszczepu serca (DT). Odnalezione rekomendacje kliniczne wskazują, iż istnieją dostępne dowody, świadczące o wyższości urządzenia o ciągłym przepływie nad urządzeniem o przepływie pulsacyjnym. Niemniej jednak odnalezione rekomendacje kliniczne nie odnoszą się bezpośrednio do pomp III generacji, ale do systemów wspomaganie pracy serca (VAD) ogółem.

Najnowsze wytyczne kanadyjskie i europejskie dopuszczają stosowanie sztucznych komór serca nie tylko w strategii pomostowania do przeszczepu, ale także w terapii docelowej, czy BTD. Zwraca się uwagę na zasadność starannej selekcji pacjentów, którzy mogą odnieść

korzyści z mechanicznego wspomaganie pracy serca, a także na istotne ryzyko ciężkich incydentów medycznych.

Odnalezione rekomendacje finansowe nie odnoszą się bezpośrednio do pomp III generacji. Amerykańscy ubezpieczyciele dopuszczają stosowanie mechanicznego wspomaganie pracy serca sztucznymi komorami, posiadającymi pozwolenie FDA (a więc nie III generacji) u starannie wyselekcjonowanej grupy pacjentów. Europejskie rekomendacje podkreślają istotną rolę pomp do mechanicznego wspomaganie pracy serca u chorych ze schyłkową niewydolnością serca, zwracają jednak uwagę na wysokie koszty technologii, w tym nie tylko koszty operacji, ale także koszty dalszego prowadzenia pacjenta i powikłań.

Status i warunki finansowania poza Polską

W roku 2010, na polu mechanicznego wspomaganie serca sztucznymi komorami w Europie, odznaczały się głównie takie kraje, jak: Niemcy, Wielka Brytania, Francja, Belgia i Austria.

Pompy HVAD® (HeartWare) są dostępne obecnie na rynkach 18 państw świata (56 szpitali): Australii, Nowej Zelandii, Malezji, Kanadzie, Łotwie, Danii, Francji, Niemczech, Izraelu, Włoszech, Norwegii, Szwecji, Grecji, Szwajcarii, Turcji, Belgii, Wielkiej Brytanii a także w Polsce. Trwają badania kliniczne mające na celu dopuszczenie stosowania HVAD-ów w USA we wskazaniach: BTT i DT. Poza wyżej wymienionymi, pompy HeartWare są także w ograniczonym zakresie dostępne w innych krajach. W raporcie rocznym za rok 2011, firma HeartWare donosi o pozytywnej decyzji refundacyjnej w Belgii i Francji.

Pompy DuraHeart® (TerumoHeart) zostały dopuszczone w 2009 roku do stosowania w Japonii, a w kwietniu 2011 roku objęte systemem refundacji. W Europie, na podstawie przyznania znaku CE, są dostępne od 2007 roku. W USA trwają badania kliniczne w celu rejestracji we wskazaniach BTT i DT.

Incor® (Berlin Heart) otrzymał zgodę na wprowadzenie na rynek europejski już w 2003 roku. Nie jest dostępny w USA.

Najczęściej stosowanymi pompami wspomagającymi pracę serca na świecie pozostają HeartMate II (Thoratec).

Dodatkowe uwagi Rady

Rada sugeruje znalezienie alternatywnych sposobów finansowania mechanicznego wspomaganie serca pompami implantowanymi najnowszej generacji.

Biorąc pod uwagę powyższe argumenty, Rada Przejrzystości przyjęła stanowisko jak na wstępie.

.....
[Redacted signature area]

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31c ust. 6 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, z uwzględnieniem opracowania Agencji Oceny Technologii Medycznych „Mechaniczne wspomaganie serca pompami implantowalnymi najnowszej generacji – identyfikowanymi procedurami wysokospecjalistycznymi: 13.1 do 13.5”, AOTM–DS–DKTM-430-01-2011, czerwiec 2012 r.

Inne wykorzystane źródła danych, oprócz wskazanych w ww. raporcie:

1. Opinia eksperta przedstawiona podczas posiedzenia Rady w dniu 11.06.2012 r.