



**Stanowisko Rady Konsultacyjnej  
nr 81/2011 z dnia 19 września 2011r.  
w sprawie zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej  
„Wszczepienie pompy baklofenowej w leczeniu spastyczności  
opornej na leczenie farmakologiczne”  
jako świadczenia gwarantowanego**

*Rada Konsultacyjna uważa za zasadne zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „Wszczepienie pompy baklofenowej w leczeniu spastyczności opornej na leczenie farmakologiczne”, jako świadczenia gwarantowanego w ramach terapeutycznego programu zdrowotnego pod następującymi warunkami:*

- *obniżenia kosztu pompy programowalnej do poziomu kosztu pompy pneumatycznej,*
- *zmniejszenia kosztów baklofenu dokanałowego,*
- *ściśłego przestrzegania kryteriów kwalifikacji do leczenia.*

**Uzasadnienie**

Przeprowadzony przegląd systematyczny badań bez grupy kontrolnej, oceniający efektywność kliniczną pomp baklofenowych, sugeruje wysoką skuteczność oraz bezpieczeństwo kliniczne wnioskowanej terapii w leczeniu spastyczności w przebiegu uszkodzenia rdzenia kręgowego i mózgu. Jednakże mając na uwadze niższą wiarygodność badań oceniających wyroby medyczne, a także brak odpowiednio zaprojektowanych, wiarygodnych z punktu widzenia statystyczno-naukowego, prób klinicznych, oceniających skuteczność oraz bezpieczeństwo pomp baklofenowych, nie można w pełni wnioskować o istnieniu korzyści klinicznej związanej z ich zastosowaniem.

Pompa baklofenowa jest skuteczna w zmniejszaniu spastyczności wynikającej z uszkodzenia rdzenia kręgowego lub mózgu, ale udowodniono to w badaniach o niezbyt wysokiej wiarygodności naukowej. Jest to technologia bardzo kosztowna. Umieszczenie ocenianego świadczenia w katalogu świadczeń w ramach leczenia szpitalnego stworzy możliwości nieograniczonego jego stosowania, poza zdefiniowanymi kryteriami włączenia i wyłączenia. Może to prowadzić do finansowania tej kosztownej procedury, której efekty zdrowotne w zbyt szerokiej populacji chorych mogą okazać się niższe niż oczekiwane, przy narażeniu pacjenta na powikłania infekcyjne.

Biorąc pod uwagę pozytywną ocenę ekspertów, jeżeli koszty procedury uległyby obniżeniu, można rozważyć stosowanie pompy baklofenowej w ramach programu terapeutycznego (przy zawężeniu kryteriów włączenia populacja może być ograniczona do około 2000 osób rocznie). Jedynie program terapeutyczny pozwoli na jej kontrolowane zastosowanie, wyłącznie w przypadkach ciężkiej spastyczności, opornej na standardowe leczenie.

**Tryb przygotowania stanowiska**

Niniejsze stanowisko opracowane zostało przez Radę Konsultacyjną na podstawie zlecenia Ministra Zdrowia z dnia 15.11.2010 (znak pisma: MZ-OZG-72-22632-4/AKR/10), przekazanego przez Ministerstwo Zdrowia jako załącznik pisma z dnia 15.11.2010 opisu świadczenia: „Wszczepienie



pompy baklofenowej w leczeniu spastyczności odpornej na leczenie farmakologiczne”, późniejszych modyfikacji zlecenia w piśmie z dnia 17.12.2010 (znak pisma: MZ-OZG-73-23149-1/AKR/10) i piśmie z dnia 29.15.2011 r. (znak: MZ-OZG-73-25362-5/JC/11) oraz raportu ws. oceny świadczenia opieki zdrowotnej „Wszczepienie pompy baklofenowej w leczeniu spastyczności odpornej na leczenie farmakologiczne” nr AOTM-DS-DKTM-0431-15-2010.<sup>1</sup>

### **Problem zdrowotny**

Spastyczność w schorzeniach neurologicznych (zarówno pochodzenia mózgowego jak i rdzeniowego) jest stanem nadmiernego napięcia mięśni związanego z ich nieprawidłową reakcją na bodźce, które w zależności od przyczyny, czasu trwania i rodzaju schorzenia, może przybierać różne postaci. Prowadzi do przykurczów i osłabienia, a w konsekwencji do ograniczenia ruchów mięśni zależnych od woli. Występuje przy różnego rodzaju schorzeniach ośrodkowego układu nerwowego (OUN).<sup>1,2</sup>

Spastyczność zapoczątkowuje serie zdarzeń, które poprzez ograniczenie prawidłowej funkcji mięśni i wzrost ich napięcia prowadzi do powstawania przykurczów mięśniowo-ścięgnistych, deformacji kości i sztywności lub niestabilności stawów.<sup>1,2</sup>

Mechanizm powstawania spastyczności nie jest do końca wyjaśniony. Jedną z głównych przyczyn powstawania tego schorzenia jest zaburzenie w regulacji napięcia mięśniowego w OUN, w wyniku czego dochodzi do utraty kontroli ośrodka nadrdzeniowego nad ośrodkiem rdzeniowym, co powoduje nadmierną pobudliwość motoneuronów alfa i gamma. Konsekwencją jest wzrost tonusu mięśniowego, niedowład lub bezwład mięśni, brak kontroli nad koordynacją ruchową i napięciem mięśniowym, zmiany działania i struktury mięśni.<sup>3,4</sup>

Spastyczność może być wywołana przez: porażenie mózgowe, rozległe urazy czaszkowo-mózgowe, udar mózgu, uszkodzenie rdzenia kręgowego, stwardnienie rozsiane oraz postępujące choroby zwyrodnieniowe układu nerwowego z zajęciem górnego neuronu ruchowego z objawami piramidowymi i pozapiramidowymi (leukodystrofie, choroba Hallervordena-Spatza, ceroidolipofuscynoza, choroba Huntigtona).<sup>1</sup>

Objawy i przebieg spastyczności zależą od jej etiologii, umiejscowienia i rozległości uszkodzenia OUN, objawów towarzyszących i stopnia ich nasilenia, skojarzenia z zaburzeniami czucia, istnienia szeregu czynników nasilających przebieg choroby (odległyny, infekcje dróg moczowych, czynniki klimatyczne: chłód, deszcz, wiatr). Charakterystycznym objawem spastyczności jest objaw szczykowy polegający na nagłym zmniejszeniu oporu na bierne i szybkie rozciąganie, z chwilą osiągnięcia szczytowego jego nasilenia. Innymi objawami spastyczności są: wygórowane odruchy ścięgniste, odruchy patologiczne, współruchy patologiczne, konusy (trząsy), nadpobudliwość układu autonomicznego, niedowład, porażenie mięśni i ich nadmierna męczliwość, brak precyzji ruchów, zniesienie odruchów powierzchniowych.<sup>4</sup>

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 badanie napięcia mięśniowego, ruchomości, siły, równowagi i wytrzymałości. Dla obiektywnej oceny pacjenta ze spastycznością stosuje się: pomiary goniometryczne, ilościową komputerową obiektywną analizę chodu, zmodyfikowaną skalę Ashwortha oceny napięcia mięśniowego, pomiar obu stronny przywodzicieli i inne. Dobór testu jest stosowany w zależności od spodziewanych zmian i wyników po zastosowanym wybranym sposobie leczenia.<sup>1,7</sup>

Dokładne rozpowszechnienie spastyczności nie jest znane, lecz uważa się, że jest nią dotkniętych około 12 milionów osób na świecie. Ciężka spastyczność, ograniczająca aktywność życiową i będąca przyczyną dolegliwości bólowych, niepoddająca się konwencjonalnemu leczeniu farmakologicznemu może dotyczyć około 5% pacjentów ze spastycznością pochodzenia rdzeniowego, 7% dzieci z mózgowym porażeniem dziecięcym oraz  $\frac{1}{3}$  pacjentów ze spastycznością pochodzenia mózgowego.<sup>1,2,7</sup>

## Obecna standardowa terapia

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

Terapia chorych obejmuje:<sup>1,2,5,6</sup>

- Leczenie farmakologiczne miorelaksacyjne – polegające na stosowaniu środków farmakologicznych mających na celu obniżenie wzmożonego napięcia mięśniowego. Leczenie rozpoczyna się od stosowania małych dawek leku i w razie potrzeby stopniowo je zwiększa, aby zminimalizować wystąpienie objawów niepożądanych. Stosuje się głównie preparaty doustne tj. baklofen, benzodiazepiny (diazepam, klonazepam, tetrazepam, klorazepam dwupotasowy, ketazolam), dantrolen i tizanidynę, klonidynę, gabapentynę, lamotryginę, cytroheptadynę, tolperyzon.
- Leczenie farmakologiczne miejscowe, domięśniowe – polegające 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.
- Leczenie chirurgiczne – obejmujące szereg zabiegów chirurgicznych mających na celu obniżenie napięcia mięśniowego, do których zalicza się: 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.
- Elektroterapię – stosowaną głównie w zaburzeniach układu ruchu, polegającą na użyciu prądów elektrycznych w celu redukcji objawów (m.in. bólu) i polepszenia sprawności fizycznej. Wśród metod można wyróżnić: tonilizę, funkcjonalną elektrostymulację, przezskórną elektrostymulację, stymulację rdzenia kręgowego oraz mózdku.
- Leczenie rehabilitacyjne – polegające 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.

W ciężkiej spastyczności stosuje się leczenie inwazyjne. Polega ono na dokanałowym podaniu baklofenu za pomocą pompy (u chorych z uogólnioną spastycznością, zwykle silnie zmniejsza napięcie mięśni), dokanałowym podaniu fenolu (powoduje porażenie wiotkie na 3-12 miesięcy; często powoduje zaburzenia czynności pęcherza moczowego, zwieracza odbytu i zaburzenia czucia, a więc leczenie stosowane jest u chorych, u których wspomniane zaburzenia już występują i są utrwalone), przecięciu korzeni przednich rdzenia kręgowego, stosowaniu blokady fenolowej lub alkoholowej nerwów obwodowych.<sup>2</sup>

Powyższe zalecenia oparto na licznych wytycznych klinicznych, w tym: SIGN (2010),<sup>11</sup> EWGSC (2010),<sup>12</sup> AAN (2010),<sup>13</sup> AFP (2010),<sup>14</sup> AWMF (2008/2010),<sup>15,17</sup> AFSSAPS (2009),<sup>16</sup> BPS (2008),<sup>18</sup> Royal Collage of Physician (2008),<sup>19</sup> MSTCG (2006),<sup>20</sup> NZGG (2006),<sup>21</sup> ONS (2004),<sup>22</sup> AAP (2004),<sup>23</sup> RCP/NICE (2004).<sup>24</sup>

## Opis świadczenia<sup>1,2</sup>

Programowalna pompa baklofenowa (ITB Therapy – ang. Intrathecal Baclofen Therapy) jest urządzeniem, dzięki któremu leki antyspastyczne są bezpośrednio doprowadzane do kanału kręgowego w dawkach dużo mniejszych, niż w formie doustnej. Przed wszczepieniem pompy wykonuje się próbę baklofenową, polegającą na jednorazowym podaniu leku. Następnie obserwuje się reakcje organizmu, jeśli nastąpiła poprawa, wówczas chory jest kwalifikowany do zabiegu. Leczenie za pomocą pompy baklofenowej stosuje się po zakończonym, nieskutecznym leczeniu farmakologicznym. Podawanie leku odbywa się mniej więcej raz na dwa-trzy tygodnie w zależności od dawki i szybkości podawania.

Po zakwalifikowaniu do leczenia baklofenem (podawanym dokanałowo), u chorych wszczepia się w warunkach sali operacyjnej, w znieczuleniu ogólnym, pompę baklofenową w postaci tytanowego krążka średnicy kilku centymetrów i grubości nie przekraczającej 3 cm. Umieszcza się ją w podskórnej kieszonce w przedniej ścianie brzucha. Z pompy wyprowadzony jest cewnik, biegnący podskórną przestrzenią podpajęczynówkowej kanału kręgowego, zwykle w odcinku lędźwiowym. Pompa zawiera zbiornik z lekiem (Lioresal – preparat baklofenowy do podawania podpajęczynówkowego), który pod ciśnieniem zawartego w pompie gazu wypychany jest z określoną szybkością do silikonowego drenu prowadzącego od pompy do przestrzeni podpajęczynówkowej kanału kręgowego. Wprowadza to lek w sposób ciągły bezpośrednio do płynu mózgowo-rdzeniowego w dawce ustalonej indywidualnie dla każdego chorego. Pompy zwykle umożliwiają zmianę szybkości podawania leku przy pomocy przezskórnego programatora. Po zabiegu wszczepienia pompy urządzenie przez kilka dni pozostaje wyłączone, a następnie ustala się optymalny dla chorego wyptyw leku na podstawie oceny klinicznej reakcji na stopniowo zwiększane dawki. Pompy programowalne zwykle pozwalają na zmianę sposobu infuzji, dawki leku i częstotliwości jego podawania. Udostępniają też dane identyfikacyjne pacjenta, o nazwie leku i jego stężeniu, dacie i czasie wprowadzenia zaleceń dotyczących stosowania leku, zawartości zbiornika, komunikaty o niskiej zawartości zbiornika i o wyczerpywaniu się baterii. Programowalne parametry są ustawiane i zmieniane przez lekarza prowadzącego leczenie za pomocą zewnętrznego sterownika, który zdalnie wymienia informacje pomiędzy pompą a sterownikiem. Bezpośrednio po uruchomieniu podawania leku u chorych bada się częstość oddechów, tętno, napięcie mięśniowe, spastyczność (według skali Ashwortha) oraz występowanie ruchów mimowolnych.

Ważne jest przeszkolenie chorego i opiekunów w zakresie postępowania z pompą, zapobiegania powikłaniom oraz szybkiej oceny ewentualnych powikłań (np. zakażenia). Pompa baklofenowa działa przez kilka lat (obecnie około 7 lub 14 lat), po czym wymaga wymiany. Ponadto w trakcie użytkowania zbiornik pompy musi być dopełniany stosownie do zużycia leku w warunkach szpitalnych. Po każdorazowym uzupełnieniu zawartości zbiornika pompy chory musi być obserwowany przez 24 godziny.

Konieczna jest regularna, najmniej comiesięczna kontrola tolerancji leczenia i prawidłowości działania systemu infuzyjnego w ośrodku prowadzącym leczenie i zabezpieczenie terminowego uzupełniania zawartości leku w pompie przez przeszkolony personel. Przerwa w podawaniu leku w wyniku wyczerpania zawartości zbiornika lub uszkodzenia systemu pompy i cewnika może stanowić zagrożenie dla życia i wymaga natychmiastowego leczenia. Ośrodki prowadzące leczenie mogą włączać do programu chorych zamieszkałych w odległości pozwalającej na zgłoszenie się w ciągu 2-3 godzin i muszą zapewnić stały dostęp chorego do specjalisty z zespołu leczącego.

Chorymi wymagającymi wszczepienia pompy baklofenowej najczęściej są pacjenci z mózgowym porażeniem dziecięcym i stwardnieniem rozsianym.

Do leczenia przy pomocy pompy baklofenowej kwalifikują się chorzy spełniający następujące warunki: ciężka, przewlekła, uogólniona, obustronna, trwająca co najmniej 12 miesięcy spastyczność kończyn w przebiegu stwardnienia rozsianego, dziecięcego porażenia mózgowego, niedokrwiennego 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 ograniczający możliwość samoobsługi, możliwość rehabilitacji i istotnie pogarszający jakość życia; spastyczność w skali Ashwortha >3 i/lub obecność bolesnych skurczów mięśniowych, powodująca trudności z samodzielną 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 próby baklofenowej; zachowana drożność przestrzeni podpajęczynówkowej rdzenia kręgowego; stabilny stan ogólny chorego; dobre rokowanie poprawy funkcji ruchowych i możliwości samopielegnacyjnych 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.

Przeciwwskazania do założenia pompy baklofenowej obejmują: ostry lub przewlekły stan zapalny; w wywiadzie alergia lub nadreaktywność na baklofen; ciąża i okres karmienia piersią; okres menopauzy; stan po udarze krwotocznym; ostra lub przewlekła niewydolność nerek; niewydolność wątroby; choroby przewodu pokarmowego; brak współpracy ze strony pacjenta; zbyt mała grubość tkanki podskórnej; lekooporna padaczka; utrwalone przykurcze kończyn.

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 zbyt napięte mięśni.

Obecnie na terytorium Polski dostępne są dwie implantowane pompy infuzyjne do podawania baklofenu: implantowana, programowalna pompa infuzyjna Synchroned® II oraz implantowana pompa infuzyjna Archimedes™ oraz jeden preparat baklofenu podawanego dooponowo.

Leczenie spastyczności z udziałem pompy baklofenowej do stycznia 2010 r. było finansowane w ramach indywidualnych umów NFZ (tzw. świadczenia za zgodą płatnika). Obecnie finansowaniem ze środków publicznych w ramach leczenia szpitalnego objęty jest koszt leku (baklofenu) oraz koszty zabiegu uzupełnienia pompy baklofenowej.

Zgodnie z informacjami przekazanymi przez Ministerstwo Zdrowia, świadczenie wszczepienia pompy baklofenowej nie obejmuje bieżącego uzupełnienia baklofenu, które jest świadczeniem finansowanym odrębnie i znajduje się w wykazie świadczeń gwarantowanych z zakresu leczenia szpitalnego (zał. nr 1 do Rozporządzenia Ministra Zdrowia z dnia 29 sierpnia 2009 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu leczenia szpitalnego).

### **Efektywność kliniczna<sup>1</sup>**

Ocena efektywności klinicznej wszczepienia pompy baklofenowej w leczeniu spastyczności odpornej na leczenie farmakologiczne została przeprowadzona w ramach przeglądu systematycznego badań pierwotnych. W oparciu o 11 badań pierwotnych oraz 22 rekomendacje kliniczne dokonano oceny klinicznej skuteczności baklofenu podawanego dokanałowo przy użyciu pompy infuzyjnej w porównaniu z interwencjami stosowanymi w leczeniu spastyczności po nieskuteczności leczenia farmakologicznego w terapii pacjentów ze zdiagnozowaną spastycznością. Odnalezione w wyniku przeglądu publikacje z badań pierwotnych stanowiły próby kliniczne RCT jedynie w fazie testu baklofenowego. Wszystkie włączone do przeglądu badania pierwotne to próby kliniczne typu pretest/posttest, bez grupy kontrolnej.

W badaniach pierwotnych najczęściej ocenianą pompą baklofenową była pompa programowalna.

W wyniku przeprowadzonego przeglądu badań należy stwierdzić, iż w rozpatrywanej populacji docelowej (chorzy spełniający odpowiednie warunki, kwalifikujący się do leczenia przy pomocy pompy baklofenowej) wszczepienie pompy baklofenowej skutkuje istotnym statystycznie zmniejszeniem stopnia spastyczności w skali Ashworth od 1,48 pkt. (przed  $\geq 3$  pkt., po 1,52 ( $\pm 0,96$ ) pkt.,  $p < 0,001$ ) do 3,1 pkt. (przed 4,3 ( $\pm 0,6$ ) pkt., po 1,2 ( $\pm 0,3$ ) pkt.,  $p < 0,01$ ), nie ma przy tym dowodów przemawiających na korzyść któregoś z systemów infuzji – ciągły, kompleksowy czy zaprogramowany bolus.

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 odpowiednia selekcja pacjentów do terapii ITB i przeprowadzenie próby baklofenowej; szczególnie zalecane po urazach rdzenia kręgowego oraz w stwardnieniu rozsianym,

u pacjentów z spastycznością kończyn dolnych; w przypadku spastyczności powodującej utrzymywanie się niewygodnej pozycji, utrudnienie opieki i pielęgnacji, zakłócenia snu; zakłócenie chodu, uniemożliwienie samodzielności, ból.

### **Bezpieczeństwo stosowania**

Analizę bezpieczeństwa oparto na 11 badaniach pierwotnych (próby kliniczne RCT w fazie testu baklofenowego, badania typu pretest/posttest, bez grupy kontrolnej). Dodatkowe źródło informacji stanowiła charakterystyka produktu leczniczego oraz instrukcja użycia i etykieta implantowanej pompy infuzyjnej (materiały informacyjne producenta pompy).

Analiza wyników w populacji leczonej baklofenem podawanym dokanałowo przy użyciu pompy infuzyjnej wykazała następującą częstość występowania działań niepożądanych:

- Związane z lekiem: hipotonia (5-12%), nudności, zawroty głowy, senność (0,7-12%), zaparcia (5,4-9%), ból (6,7%), infekcja dróg moczowych (5,4%), hipertonia (5,4%), ból głowy (4,5-5,4%), zatrzymanie moczu (3%), zaburzenia erekcji (1,5%), hipotensja i bradykardia (1,5%).
- Związane z pompą: reimplantacja pompy (41,6%), w tym: niski poziom baterii w ciągu 4-5 lat (28%), rany, urazy (2,3-16%), problemy z cewnikiem (13,9%), zatkanie cewnika (9%), przebicie cewnika (9%), przemieszczenie cewnika (9%), złamanie cewnika (6%), przesunięcie pompy (1,5%), zapalenie opon mózgowych (0,7%), problem z zaworem (0,7%).<sup>1</sup>

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.<sup>8,9,10</sup>

### **Koszty świadczenia i jego wpływ na budżet płatnika<sup>1</sup>**

Analiza ekonomiczna dotyczyła oszacowania efektywności kosztowej leczenia baklofenem podawanym dokanałowo w sposób ciągły za pośrednictwem pompy baklofenowej w połączeniu z terapią towarzyszącą (obejmującą rehabilitację, zaopatrzenie w sprzęt ortopedyczny, specjalistyczne leczenie ambulatoryjne), w porównaniu z leczeniem standardowym (obejmującym rehabilitację, zaopatrzenie w sprzęt ortopedyczny, specjalistyczne leczenie ambulatoryjne) u chorych z ciężką spastycznością (pochodzenia zarówno mózgowego, jak i rdzeniowego) w przebiegu mózgowego porażenia dziecięcego, stwardnienia rozsianego, urazów rdzenia kręgowego, ciężkiego uszkodzenia mózgu oraz udarów mózgu.

Analizę przeprowadzono z perspektywy płatnika publicznego (NFZ). W związku z ograniczoną żywotnością baterii w pompach baklofenowych, w analizie przyjęto 7 oraz 14-letni horyzont czasowy, zakładając, że okres użytkowania programowalnej pompy baklofenowej wynosi 7 lat, a pneumatycznej pompy baklofenowej 15 lat, przy czym horyzont czasowy zastosowany w analizie był jednakowy dla pomiaru kosztów, jak i wyników zdrowotnych.

W celu oceny zasobów koniecznych dla uzyskania odpowiedniego efektu klinicznego, przeprowadzono analizę kosztów-konsekwencji, która jest zestawieniem wyników zdrowotnych i kosztów. Do oszacowania inkrementalnego współczynnika kosztów-użyteczność (ICUR) w 7- oraz 14-letnim horyzoncie czasowym (w analizie podstawowej przy rocznej stopie dyskontowej 3,5% dla efektów zdrowotnych oraz 5% dla kosztów), wykorzystano wagi użyteczności pochodzące z dwóch badań.<sup>31,32</sup>

Koszty całkowite przypadające na pacjenta związane z zastosowaniem pompy baklofenowej w I roku po wszczepieniu wynoszą 67 tys. zł dla pompy programowalnej oraz 64 tys. zł dla pompy pneumatycznej. Natomiast w kolejnych latach po wszczepieniu koszty kształtują się na poziomie 30,3 tys. zł. Całkowite koszty roczne leczenia standardowego są równe 7 tys. zł.

Współczynnik ICUR oszacowany w 7-letnim horyzoncie wynosi 70-118 tys. zł dla pompy programowalnej oraz 58-97 tys. zł dla pompy pneumatycznej. Natomiast w 14-letnim horyzoncie czasowym parametr ICUR wynosi 37-63 tys. zł dla pompy programowalnej oraz 20-34 tys. zł dla pompy pneumatycznej.

Analiza wpływu na budżet została przeprowadzona z perspektywy NFZ dla 5-letniego horyzontu czasowego. W 1. roku do leczenia kwalifikowani są pacjenci z populacji obecnej, w 2. i kolejnych latach pacjenci z populacji nowej oraz kontynuujący leczenie w liczbie pomniejszonej o wskaźnik usunięcia pompy (3%) i zgonów (3%). W 2. i kolejnych latach liczba nowych pacjentów wchodzących do leczenia utrzymuje się na stałym poziomie. Na podstawie wskaźników i danych epidemiologicznych wielkość populacji oszacowano na 12 605 pacjentów kwalifikujących się do terapii ITB na podstawie ustalonych kryteriów włączenia. Roczne przyrosty populacji docelowej oceniono na około 683 pacjentów.

W analizie rozpatrywano trzy warianty (I – zakładający stosowanie pompy programowalnej, II – uwzględniający użycie pompy pneumatycznej, III – zakładający stosowanie pompy programowalnej, której cena została „zlimitowana” do ceny pompy pneumatycznej), po trzy scenariusze w każdym (I – najbardziej prawdopodobny, II – minimalny, III – maksymalny).

Dodatkowe koszty wynikające z zastąpienia terapii standardowej przez leczenie baklofenem podawanym dokanałowo za pośrednictwem pompy infuzyjnej będą najwyższe w 1. roku ze względu na dużą populację zastaną i w związku z procedurą wszczepienia pompy. Natomiast w roku 2. wydatki prawdopodobnie będą o ponad połowę niższe i w kolejnych latach przyrastać będą w niewielkim stopniu. Ponośzone koszty będą kształtować się na poziomie: 379 mln zł i 179 mln zł - dla pompy programowalnej, 360 mln zł i 177 mln zł - dla pompy pneumatycznej, 268 mln zł i 167 mln zł - dla „zlimitowanej” pompy programowalnej.

Zarówno amerykańska Aetna (2011)<sup>25</sup> i TUFTS (2011),<sup>26</sup> jak i nowozelandzka PTAC (2009),<sup>27</sup> argentyński IECS (2009),<sup>28</sup> kanadyjskie OHTAC (2005)<sup>29</sup> oraz hiszpańska AETSA (2008)<sup>30</sup> rekomendują finansowanie ze środków publicznych wszczepiania pompy baklofenowej w przypadku odpornej na leczenie farmakologiczne spastyczności.

Zgodnie z informacjami przekazanymi przez wytwórcę pompy baklofenowej, wszczepienie pompy baklofenowej w leczeniu spastyczności jest finansowane ze środków publicznych w następujących krajach europejskich: Włochy, Niemcy, Francja, Słowacja, Czechy, Hiszpania, Austria, Szwajcaria, Wielka Brytania, Belgia.<sup>1</sup>

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

## Piśmiennictwo

1. Raport ws. oceny świadczenia opieki zdrowotnej „Wszczepienie pompy baklofenowej w leczeniu spastyczności odpornej na leczenie farmakologiczne” nr AOTM-DS-DKTM-0431-15-2010. Agencja Oceny Technologii Medycznych: Warszawa, wrzesień 2011.
2. Szczeklik A, et.al. Choroby wewnętrzne. Stan wiedzy na rok 2010. Medycyna Praktyczna, Kraków 2010.
3. Kmieć T. „Spastyczność-leczenie farmakologiczne”, Opieka paliatywna nad dziećmi – Tom XVI/ 2008.
4. Świerczyńska A, Kłusek R, Jaworek M. „Neurorehabilitacja i inne sposoby leczenia spastyczności u dzieci”. Przegląd Lekarski 2007; 64(11).
5. Barnes PM. „Postępowanie w spastyczności”. Farmakoterapia w Psychiatrii i Neurologii 2005; 3: 241-248.
6. Meythaler J. „Spastic hypertonia following traumatic brain injury”. Tbi Inform. Traumatic Brain Injury Model System. University of Alabama 2003; 5. <http://main.uab.edu/tbi/show.asp?durki=56147>
7. Creedon SD, Diskers MP, Hinderer SR. Intrathecal baclofen for severe spasticity: a meta-analysis. International Journal of Rehabilitation and Health 1997;3:171-85.
8. Charakterystyka produktu leczniczego Lioresal®.
9. Instrukcja użycia i etykieta implantowalnej pompy infuzyjnej Synchroned®II.
10. Instrukcja użycia i etykieta implantowalnej pompy infuzyjnej Archimedes™.
11. Scottish Intercollegiate Guidelines Network. Management of patients with stroke: Rehabilitation, prevention and management of complications, and discharge planning. A national clinical guideline. SIGN 2010. <http://www.sign.ac.uk/pdf/sign118.pdf>

12. European Working Group for Spasticity in Children (EWGSC) 2010, Consensus on the appropriate use of intrathecal baclofen (ITB) therapy in paediatric spasticity, *European Journal of Paediatric neurology* 2010;14:19-28.
13. American Academy of Neurology. Pharmacological Treatment of Spasticity in Children and Adolescents with Cerebral Palsy. Report of the Quality Standards Subcommittee of the American Academy of Neurology and the Practice Committee of the Child Neurology Society. AAN 2010.  
<http://www.aan.com/practice/guideline/uploads/407.pdf>
14. Australian Family Physician (AFP). Health care services for adults with cerebral palsy. *Australian Family Physician* 2010; 39(3). <http://www.racgp.org.au/afp/201003/201003field.pdf>
15. Arbeitsgemeinschaft der Wissenschaftlichen Medizinischen Fachgesellschaften (AWMF). Multiple Sklerose im Kindesalter (Kurzfassung). AWMF-Leitlinien-Register 2010;22(14).  
[http://www.awmf.org/uploads/tx\\_szleitlinien/022-014\\_S1\\_Multiple\\_Sklerose\\_im\\_Kindesalter\\_12-2008\\_12-2011.pdf](http://www.awmf.org/uploads/tx_szleitlinien/022-014_S1_Multiple_Sklerose_im_Kindesalter_12-2008_12-2011.pdf)
16. Agence française de sécurité sanitaire des produits de santé. Recommandations de bonne pratique. Traitements médicamenteux de la spasticité. AFSSAPS 2009. <http://www.afssaps.fr/Infos-de-securite/Recommandations/Traitements-medicamenteux-de-la-spasticite-Recommandations-de-bonne-pratique>
17. Arbeitsgemeinschaft der Wissenschaftlichen Medizinischen Fachgesellschaften (AWMF). Therapie des spastischen Syndroms, Leitlinien für Diagnostik und Therapie in der Neurologie; 4 überarbeitete Auflage. AWMF-Leitlinien-Register 2008;30(78). [http://www.awmf.org/uploads/tx\\_szleitlinien/030-078\\_S1\\_Spastisches\\_Syndrom\\_Therapie\\_10-2008\\_10-2013.pdf](http://www.awmf.org/uploads/tx_szleitlinien/030-078_S1_Spastisches_Syndrom_Therapie_10-2008_10-2013.pdf)
18. British Pain Society. Intrathecal drug delivery for the management of pain and spasticity in adults Recommendations for best clinical practice. BPS 2008. [www.britishpainsociety.org](http://www.britishpainsociety.org)
19. Royal College of Physicians. Intercollegiate Stroke Working Party. National clinical guideline for stroke, 3rd edition. London 2008. <http://bookshop.rcplondon.ac.uk/contents/6ad05aab-8400-494c-8cf4-9772d1d5301b.pdf>
20. Therapy Consensus Group (MSTCG) of the German Multiple Sclerosis Society. Symptomatic Treatment of Multiple Sclerosis. *Eur Neurol* 2006;56:78-105.
21. New Zealand Guidelines Group (NZGG). Traumatic brain injury: diagnosis, acute management and rehabilitation. NZGG 2006.
22. Oncology Nursing Society. Access device guidelines: recommendations for nursing practice and education. 2nd. ed. Pittsburgh. ONS 2004. <http://www.ons.org/>
23. Cooley W, Committee on Children With Disabilities. Providing a Primary Care Medical Home for Children and Youth With Cerebral Palsy. Clinical Report, Guidance for the Clinician in Rendering Pediatric Care. American Academy Of Pediatrics (AAP). *Pediatrics* 2004; 114(4).  
<http://aappolicy.aappublications.org/cgi/reprint/pediatrics;114/4/1106.pdf>
24. National Institute for Health and Clinical Excellence. Royal College of Physicians. Chartered Society of Physiotherapy. Multiple sclerosis. National clinical guideline for diagnosis and management in primary and secondary care. NICE/RCP 2004.  
<http://guidance.nice.org.uk/nicemedia/live/10930/46699/46699.pdf>
25. Aetna. Clinical Policy Bulletin: Infusion Pumps. Number: 0161. USA 2011.  
[http://www.aetna.com/cpb/medical/data/100\\_199/0161.html](http://www.aetna.com/cpb/medical/data/100_199/0161.html)
26. TUFTS Health Plan, Medical Necessity Guidelines Intrathecal Pump for the Infusion of Baclofen. TUFTS University USA 2011.  
[http://www.tuftshealthplan.com/providers/pdf/mng/Baclofen\\_Intrathecal\\_Infusion\\_Pump.pdf](http://www.tuftshealthplan.com/providers/pdf/mng/Baclofen_Intrathecal_Infusion_Pump.pdf)
27. Pharmacology & Therapeutics Advisory Committee (PTAC). meeting held 7 & 8 May 2009.  
<http://www.pharmac.govt.nz/PTAC>
28. Instituto de Efectividad Clínica y Sanitaria, Baclofeno administrado por bomba intratecal en pacientes con espasticidad. Documentos de Evaluación de Tecnologías Sanitarias, Informe de Respuesta Rápida N° 182. IECS, Argentina 2009. <http://www.iecs.org.ar/>
29. Ontario Health Technology Advisory Committee (OHTAC). Recommendation, Intrathecal Pumps for Baclofen Infusion for Spasticity, May 13, 2005,  
[http://www.health.gov.on.ca/english/providers/program/ohdac/tech/recommend/rec\\_pump\\_081605.pdf](http://www.health.gov.on.ca/english/providers/program/ohdac/tech/recommend/rec_pump_081605.pdf)
30. Agenciia De Evaluaci3n De Tecnollogíass Saniittarriiass De Andallucía (AETSA). Bombas de infusi3n Implantables, Hiszpania 2000.
31. De Lissovoy GM. Cost-effectiveness of intrathecal baclofen therapy for the treatment of severe spasticity associated with cerebral palsy. *Journal of Child Neurology* 2007; 22(1):49-59.
32. Sampson FCH. Functional benefits and cost/benefit analysis of continuous intrathecal baclofen infusion for the management of severe spasticity. *Journal of Neurosurgery* 2002; 96(6):1052-1057.