



Opinia
Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych
nr 15/2014 z dnia 7 stycznia 2014 r.
o projekcie programu „Profilaktyka i wczesne wykrywanie chorób u
dzieci w wieku od 9 m.ż. do 6 lat włącznie” miasta Legionowo

Po zapoznaniu się z opinią Rady Przejrzystości wydaję negatywną opinię o projekcie programu „Profilaktyka i wczesne wykrywanie chorób u dzieci w wieku od 9 m.ż. do 6 lat włącznie” miasta Legionowo.

Uzasadnienie

Program odnosi się do ważnego i dobrze zdefiniowanego w literaturze problemu zdrowotnego, jakim jest wczesne wykrywanie chorób nowotworowych u dzieci, podano jego koszty całkowite i jednostkowe, ale proponowane sposoby realizacji programu nie zapewniają jego skuteczności. Doprecyzowana powinna być charakterystyka beneficjentów. Interwencje diagnostyczne powinny być ograniczone do grup dzieci o podwyższonym ryzyku zachorowania na nowotwory, a nie do losowej populacji wszystkich dzieci w określonym wieku, ponieważ badanie ultrasonograficzne w takiej sytuacji może nieść ryzyko większej liczby fałszywie dodatnich wyników. Takie ryzyko dodatkowo zwiększa planowany bardzo krótki (3 dni) okres realizacji badań. Program budzi wątpliwości co do zasady równego dostępu - należy podkreślić, że kryterium dostępności oparte o Kartę Dużej Rodziny nie jest kryterium medycznym. Projekt programu niesie ryzyko dublowania niektórych świadczeń finansowanych przez Narodowy Fundusz Zdrowia, co byłoby działaniem nieefektywnym kosztowo. Nie podano informacji dotyczącej kosztów kampanii informacyjnej oraz obsługi programu. Nie zostały przedstawione wzory narzędzi ankietowych służących do oceny i monitorowania programu.

Przedmiot wniosku

Przedmiotem opinii jest program zdrowotny gminy miejskiej Legionowo z zakresu profilaktyki i wczesnego wykrywania nowotworów u dzieci. Adresatami programu są dzieci w wieku od 9 miesiąca życia do 6 lat, zamieszkałe na terenie miasta Legionowo. Głównym celem programu jest zmniejszenie zachorowalności i umieralności na choroby nowotworowe poprzez zwiększenie dostępności do specjalistycznych badań ultrasonograficznych dla dzieci w wieku od 9 miesiąca życia do 6 lat. Planowanymi interwencjami są badanie USG jamy brzusznej, tarczycy, węzłów chłonnych, a u chłopców dodatkowo moszny, a także przeprowadzenie konsultacji z lekarzem specjalistą. Program ma być realizowany w ciągu 3 dni, w 2014 roku i jest częścią realizowanego przez Legionowo Miejskiego Programu Promocji Zdrowia. Planowane koszty całkowite przeznaczone na realizację programu dotyczącego wczesnego wykrywania chorób nowotworowych u dzieci, wynoszą 15 000 zł.

Problem zdrowotny

Nowotwory u dzieci występują bardzo rzadko, ale mimo ogromnego postępu jaki dokonał się w leczeniu są drugą przyczyną zgonów wśród dzieci poniżej 15 roku życia. Umiejscawiają się



głównie w szpiku, układzie chłonny, ośrodkowym układzie nerwowym, nerkach, układzie współczulnym, tkankach miękkich, kościach, gonadach, wątrobie i w siatkówce. Ich najistotniejszą cechą odróżniającą je od nowotworów dorosłych jest ich nie nabłonkowe pochodzenie. Są to nowotwory mało zróżnicowane, w obrazie mikroskopowym większość z nich to nowotwory drobno-okrągło-komórkowe. Cechują się dużą frakcją wzrostową i dynamiką wzrostu i nawet dobowy zwłoka może skutkować podwojeniem masy guza, a tym samym zagrozić życiu dziecka. Dla białaczek i nieziarniczych chłoniaków złośliwych podwojenie frakcji wzrostowej występuje w ciągu kilkunastu godzin, natomiast w przypadku guzów litych w ciągu około 3 tygodni, a w przypadku raków podwojenie frakcji wzrostowej następuje w ciągu około 3 miesięcy. W związku z dużą dynamiką nowotworów dziecięcych, w trakcie rozpoznania proces chorobowy jest już najczęściej bardzo zaawansowany, ale też duża dynamika wzrostu wiąże się ze znacznie wyższą wrażliwością na chemioterapię. Niezależnie od stadium nowotworu trwale można wyleczyć 75% dzieci, a im mniejsza jest masa nowotworu tym skuteczniejsze jest leczenie, a wczesne działania niepożądane i odległe następstwa mniejsze.

Alternatywne świadczenia

W Polsce realizowany jest program „Program Wczesnej Diagnostyki Obrazowej Nowotworów u Dzieci w latach 2012-2016”. Celem tego programu jest poprawa wykrywalności nowotworów u dzieci we wczesnych stadiach klinicznych zaawansowania choroby, a także ograniczenie skutków ekonomicznych niepełnosprawności i przedwczesnej umieralności spowodowanych zbyt późnym rozpoznaniem choroby. Program ten jest programem zdrowotnym ustanowionym na podstawie art. 48 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2008 r. Nr 164, poz. 1027, z późn. zm.).

Wnioski z oceny przeprowadzonej przez Agencję

Kluczowe wnioski wynikające z wytycznych:

- Szybki dostęp do odpowiedniej diagnostyki obrazowej (włączając w to medycyną nuklearną) jest znaczący w przypadku dzieci lub młodzieży z podejrzeniem lub z potwierdzonym procesem nowotworowym. Obrazowanie u młodszych dzieci lub u noworodków naraża na pewnych trudności, dlatego te procedury powinny być wykonywane w centrach z odpowiednim doświadczeniem. Radiolodzy pediatryczni wyszkoleni w dziedzinie obrazowania w onkologii dziecięcej powinni być zatrudnieni w takich centrach.
- Badanie CT powinno być wykonywane tylko z ważnych przyczyn medycznych i z minimalną ekspozycją, która zapewnia niezbędną jakość dla pozyskania odpowiednich informacji służących diagnozie. Ponieważ dzieci są bardziej wrażliwe niż dorośli na działanie promieniowania jonizującego istotne jest zmniejszanie dawek promieniowania stosowanych w trakcie wykonywania badania CT.
- Rezonans magnetyczny jest kluczowy dla postawienia trafnej diagnozy guzów OUN oraz wielu innych dziecięcych guzów litych. Tomografia komputerowa jest wartościowa, ale może być mniej czuła w przypadku wielu guzów. Dzieci i młodzi dorośli z nowotworami złośliwymi często wymagają wykonania serii badań obrazowych w celu oceny przebiegu choroby, a tomografia komputerowa może ich narażać na dodatkową dawkę promieniowania.
- Rozpoznanie guza podwzgórza opiera się o badania obrazowe. Badanie MR daje możliwość w szczególności określenia rozmiaru guza, jego stosunku do sąsiednich struktur mózgu oraz określenia zmian (choć niespecyficznych) sugerujących obecność

guza podwzgórza, a także potwierdzenia obecności zwapnień. Zwapnienia guza mogą być lepiej uwidocznione w tomografii komputerowej.

W przypadku podejrzenia guzów mózgu:

- Dzieci, u których wykonanie diagnostyki obrazowej OUN wymaga wykluczenia guza mózgu (potencjalna diagnoza, ale niski poziom podejrzeń), powinny mieć wykonane badanie w ciągu 4 tygodni,
- MR jest procedurą z wyboru dla dzieci, które mogą mieć guza mózgu,
- Jeśli MR nie jest dostępny, powinno się wykonać CT z kontrastem,
- Wyniki badania powinny być interpretowane przez specjalistę z doświadczeniem i przeszkoleniem z zakresu wykonywania MR i CT OUN u dzieci.
- Konieczność zastosowania sedacji lub anestezji do przeprowadzenia badania u dziecka, nie powinna opóźniać jego wykonania o dłużej niż o tydzień.
- Neuroobrazowanie nie jest wskazane jako rutynowe badanie u dzieci z nawracającymi bólami głowy i prawidłowym wynikiem badania neurologicznego. Natomiast należy rozważyć wykonanie badania neuroobrazującego u dzieci z nawracającymi bólami głowy oraz nieprawidłowym wynikiem badania neurologicznego lub innymi objawami sugerującymi chorobę ośrodkowego układu nerwowego.
- Wiele badań wykazało, że FDG-PET/CT wykazuje się wyższą czułością i swoistością w porównaniu z obrazowaniem przy pomocy CT/MR.
- W przypadku podejrzenia nowotworów kości wszyscy pacjenci powinni mieć wykonane zdjęcie RTG. CT należy stosować tylko w przypadkach, gdzie pojawiają się wątpliwości co do diagnozy oraz do optymalnego uwidocznienia obszarów mikrozwapnień, okostnej kości, zniszczeń korowych (cortical destruction) oraz zaangażowania tkanki miękkiej.
- CT w obrębie układu mięśniowo-szkieletowego wykonuje się w celu zdiagnozowania zmian nowotworowych złośliwych lub łagodnych jeśli badanie MR było nie wystarczające lub jako badanie komplementarne do MR.
- W obrębie śródpiersia CT wykonuje się w celu oceny nieprawidłowych mas i oceny ich rozmiarów oraz w celu wykonania diagnostyki lub diagnostyki różnicowej. Zmiany nowotworowe mogą być ocenione przy pomocy CT. Uwidocznione mogą być guzy zarodkowe, chłoniaki lub guzy tarczycy, guzy pochodzenia nerwowego zlokalizowane w tylnym śródpiersiu, ale czasem MR jest bardziej przydatne do obrazowania zmian zlokalizowanych wewnątrz kręgosłupa, kręgów itd.
- W obrębie płuc CT służy do kontrolowania procesu nowotworowego, o którym wiadomo, że daje przerzuty do płuc. U pacjentów z obniżoną odpornością CT jest stosowane do oceny zaburzeń limfoproliferacyjnych. Ze względu na niewielką liczbę przypadków, CT rzadziej się stosuje do wykrywania pierwotnych nowotworów płuc, takich jak blastoma płuc.
- W obrębie narządów trzewnych ze światłem CT stosuje się do wykrywania zmian nowotworowych łagodnych oraz guzów złośliwych, głównie chłoniaków (w szczególności chłoniaku Burkitta), nowotworów podścieliska przewodu pokarmowego, tłuszczaków i popromiennego zapalenia jelit.
- W obrębie wątroby i pęcherzyka żółciowego CT służy ocenie stanu pacjentów z procesem nowotworowym związanym z nowotworem pierwotnym oraz ocenie przerzutów do wątroby.
- W obrębie trzustki CT służy ocenie rozległości guza.
- W obrębie nerek CT służy wykrywaniu i ocenie stadium rozwoju nowotworów.

- W obrębie nadnerczy CT służy pierwotnej ocenie nowotworów, często jako dodatek do USG wykonywanego w podejrzeniu nerwiaka zarodkowego lub raka kory nadnerczy.
- W obrębie jamy brzusznej i miednicy CT wykonywane w celu uwidocznienia nieprawidłowych mas.
- W obrębie krezki, otrzewnej, ścian brzucha, przepony CT wykonuje się w celu oceny łagodnych i złośliwych zmian nowotworowych.

W przypadku podejrzenia guza Wilmsa:

- Ultrasonografia jamy brzusznej i nerek jest najczęściej zalecanym badaniem diagnostycznym, które należy wykonać w pierwszej kolejności. Badanie USG umożliwia zróżnicowanie guza litego od torbieli, ocenę przestrzeni zaotrzewnowej, wyklucza lub potwierdza obecność powiększonych węzłów chłonnych i czopa nowotworowego w żyłę główną dolną.
- Komputerowa tomografia z kontrastem pozwala dokładnie ocenić miejscowe zaawansowanie guza i przestrzeń zaotrzewnową, potwierdza czynność nerek, którą dawniej oceniano za pomocą urografii dożyłnej, obecnie rzadziej wykonywanej. Na radiogramach, w 9% i w CT w 15% są widoczne zwapnienia w guzie.
- Do objawów wymagających pilnej diagnostyki należy zaliczyć: nieprawidłową liczbę krwinek, wybroczyny, zmęczenie u wcześniej zdrowych dzieci zwłaszcza, jeśli jest związane z ogólnym powiększeniem węzłów chłonnych lub hepatosplenomegalią, ból kostny zwłaszcza, jeśli jest rozproszony lub obejmuje plecy, jest trwale zlokalizowany w jednym miejscu, wymaga znieczulenia, ogranicza aktywność, powiększenie węzłów chłonnych zwłaszcza, jeśli brakuje dowodów infekcji, a ponadto: rozmiar węzła chłonnego przekracza 3 cm w największym wymiarze, obserwuje się stałe powiększanie węzła chłonnego, pojawiają się objawy ogólne takie jak gorączka czy spadek masy ciała, powiększenie węzłów chłonnych dotyczy węzłów pachowych lub nadobojczykowych, widoczne są na zdjęciu RTG, jako masy w obrębie klatki piersiowej; ból głowy zwłaszcza, jeśli narasta jego siła lub częstość, wiąże się z porannym złym samopoczuciem, wymiotami, zaburzeniami neurologicznymi (zez, ataksja), zmianami zachowania lub pogorszeniem wyników szkolnych; masy wyczuwalne w obrębie tkanek miękkich zwłaszcza, jeśli charakteryzują się szybkim wzrostem, rozmiarem przekraczającym 3 cm w największym wymiarze, są związane z powięzią, towarzyszy im powiększenie regionalnego węzła chłonnego.

Projekt programu zdrowotnego nadesłany przez gminę miejską Legionowo dotyczy wczesnej diagnostyki chorób nowotworowych u dzieci w wieku od 9 m.ż. do 6 lat włącznie. Choć nowotwory u dzieci występują stosunkowo rzadko, to stanowią one drugą przyczynę zgonów wśród osób poniżej 15 r.ż. Najnowsze dane z Krajowego Rejestru Nowotworów wskazują, że trendy zachorowalności i umieralności na nowotwory złośliwe są zróżnicowane w zależności od grupy wiekowej. Wśród osób najmłodszych, tj. w wieku od 0-19 lat, w ciągu minionej dekady zachorowalność wzrastała nieznacznie w podobnym tempie u obu płci, natomiast umieralność wykazywała malejącą tendencję. Zgodnie z opiniami ekspertów klinicznych, programy z zakresu wczesnej diagnostyki obrazowej nowotworów powinny być na bieżąco prowadzane i finansowane ze środków publicznych i przede wszystkim dotyczyć pacjentów z grup ryzyka częstszego występowania chorób nowotworowych.

Wnioski z oceny programu miasta Legionowo

Przedstawiony projekt jest częścią programów zdrowotnych realizowanych przez gminę miejską Legionowo w ramach Miejskiego Programu Promocji Zdrowia w 2014 r. i wcześniej otrzymał negatywną opinię.

Program ten ma objąć swoim zakresem ok. 170 dzieci, zamieszkujących gminę miejską Legionowo. Charakterystyka tej populacji, a więc czy będą to wyłącznie dzieci z grupy ryzyka nowotworowego czy też nie, jak również ograniczenie populacji (obecnie gminę zamieszkują ponad 5000 dzieci w wieku od 9 m.ż. do 6 r.ż.) nie zostały przez autorów programu dokładnie określone i uargumentowane. Do uczestnictwa w programie zostaną zaproszone w pierwszej kolejności dzieci z rodzin posiadających Kartę Dużej Rodziny, a sam program stanowi uzupełnienie oferty Narodowego Funduszu Zdrowia i jest przeznaczony dla osób dotychczas niekorzystających ze świadczeń. Takie założenia programu, a więc liczebność i charakterystyka populacji, a także kryterium włączenia dzieci do uczestnictwa w programie, mogą nie zapewnić równego dostępu do oferowanych świadczeń. Co więcej, bez dokładnego określenia populacji docelowej, istnieje ryzyko dublowania oferowanych świadczeń zdrowotny – obecnie w Polsce realizowany ze środków publicznych jest Program Wczesnej Diagnostyki Obrazowej Nowotworów u Dzieci w latach 2012-2016”, mający na celu poprawę wykrywalności nowotworów u dzieci we wczesnych stadiach klinicznych zaawansowania choroby.

W bieżącym projekcie, autorzy planują przeprowadzenie dwóch interwencji – badań ultrasonograficznych jamy brzusznej, tarczycy, węzłów chłonnych oraz moszny u chłopców, a także konsultacji z lekarzem specjalistą. Podstawową trudność we wczesnej diagnostyce choroby nowotworowej stanowi fakt, że powszechnie znane objawy kliniczne, np. ból czy gorączka, towarzyszą nie tylko schorzeniom onkologicznym, ale znacznie częściej wiążą się ze schorzeniami o podłożu infekcyjnym. Zjawisko to może być powodem błędnej diagnozy w początkowym okresie choroby. Jedynie powiększenie węzłów chłonnych, szybko narastająca niedokrwistość, pojawienie się objawów skazy krwotocznej, objawów wzmożonego ciśnienia śródczaszkowego oraz obecność guza w tkankach i powiększenie obwodu brzucha budzi niepokój onkologiczny u lekarza pierwszego kontaktu i u rodziców dziecka. Dlatego w przypadku utrzymywania się niespecyficznych objawów klinicznych i narastania ich w czasie – bardzo ważne jest przeprowadzenie diagnostyki różnicowej uwzględniającej podłoże onkologiczne.

Autorzy programu nie określili kryterium kwalifikacji dzieci do badania lekarskiego. Kwalifikacja do badania USG powinna odbywać się na podstawie objawów wskazujących na możliwość wystąpienia procesu nowotworowego u dzieci. Z reguły, kwalifikacji do badania dokonuje lekarz podstawowej opieki zdrowotnej, jeżeli stwierdzi objawy wskazujące na możliwość choroby nowotworowej. Wynik badania wraz z ewentualnym skierowaniem do dalszej diagnostyki lub leczenia powinien być wręczony rodzicom oraz przekazany lekarzowi kierującemu.

Realizator programu zostanie wybrany w drodze otwartego konkursu ofert, co gwarantuje realizację zadań z zasadami uczciwej konkurencji, w sposób efektywny i oszczędny. Autorzy programu planują przeprowadzić kampanię informacyjno-edukacyjną, co z kolei stanowi jeden z wyznaczników właściwego poziomu dostępności świadczeń zdrowotnych przewidzianych w programie. Realizacja programu ma być na bieżąco monitorowana przez wskazany przez autorów wydział Urzędu Miasta Legionowo, a wyniki zostaną uwzględnione w planowaniu przyszłych projektów zdrowotnych. Wzory materiałów potrzebnych do przeprowadzenia ww. zadań nie zostały jednak w projekcie przedstawione.

Wyznaczony przez autorów termin realizacji programu (3 dni) wydaje się niezwykle krótki. Ponieważ program ma objąć swoim zakresem 170 dzieci, istnieje ryzyko wykonania badań w sposób szybki i niedokładny, co jednocześnie zwiększa możliwość pominięcia istotnych objawów choroby oraz nie spełnienia podstawowego celu programu, jakim jest wczesne wykrycie zmian nowotworowych.

Autorzy oszacowali budżet, który ma zostać przeznaczony na realizację projektu, lecz nie podali, jaka część kosztów zostanie przeznaczona na przeprowadzenie kampanii informacyjno-edukacyjnej, a jaka na przeprowadzenie zaplanowanych interwencji.

Odnosząc projekt opiniowanego programu do ogólnych kryteriów dobrze zaprojektowanego programu zdrowotnego

(sformułowanych przez American Public Health Association) można stwierdzić, że:

I. Program odnosi się do ważnego i dobrze zdefiniowanego w literaturze problemu zdrowotnego, jakim jest wczesne wykrywanie chorób nowotworowych u dzieci.

II. Dostępność działań programu dla beneficjentów została zapewniona poprzez zaplanowanie kampanii promocyjno-informacyjnej, jednak uczestnictwo w programie zostało ograniczone m. in. do posiadania Karty Dużej Rodziny oraz kolejności zgłoszeń. Dokładna charakterystyka beneficjentów pozostaje nieznana.

III. Skuteczność działań jest potwierdzona przez rekomendacje ekspertów klinicznych zwłaszcza, jeśli interwencje są skierowane do grup dzieci o podwyższonym ryzyku zachorowania na nowotwory. Autorzy programu nie odnieśli się jednak do skuteczności planowanych działań.

IV. W projekcie programu podjęto próbę oszacowania kosztów realizacji programu. Koszty całkowite wynoszą 15 000 zł. Koszt jednostkowy wynosi 75 zł. Nie podano informacji dot. kosztów kampanii informacyjnej oraz obsługi programu.

V. W projekcie programu uwzględniono przeprowadzenie badań ankietowych i wizytacji. Wzory tych materiałów, a także elementy podlegające ocenie bieżącej i końcowej, nie zostały przedstawione.

Biorąc pod uwagę powyższe argumenty, wydaje opinię jak na wstępie.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48 ust. 2a ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, z uwzględnieniem „Profilaktyka i wczesne wykrywanie chorób u dzieci w wieku od 9 m.ż. do 6 lat włącznie” realizowany przez Urząd Miasta Legionowo, AOTM-OT-441-194/2013, Warszawa, styczeń 2014 i aneksu: „Programy w zakresie wczesnej diagnostyki obrazowej nowotworów u dzieci – wspólne podstawy oceny”, Aneks do raportów szczegółowych, Warszawa, lipiec 2012.

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

1. Nie dotyczy