



**Opinia Prezesa  
Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji  
nr 113/2016 z dnia 17 czerwca 2016 r.  
o projekcie programu polityki zdrowotnej pn. „Program profilaktyki  
zakażeń pneumokokowych wśród dzieci do 2 r.ż. w oparciu o  
szczepienia przeciwko pneumokokom w Gminie Garbatka-Letnisko  
na lata 2017 - 2019 z zastosowaniem szczepionki skoniugowanej  
13-walentnej”**

Po zapoznaniu się z opinią Rady Przejrzystości pozytywnie opiniuję projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki zakażeń pneumokokowych wśród dzieci do 2 r.ż. w oparciu o szczepienia przeciwko pneumokokom w Gminie Garbatka-Letnisko na lata 2017 - 2019 z zastosowaniem szczepionki skoniugowanej 13-walentnej” pod warunkiem uwzględnienia poniższych uwag.

**Uzasadnienie**

Przedstawiony projekt programu polityki zdrowotnej porusza kwestię zapobiegania zakażeniom pneumokokowym w populacji dzieci.

Postawione w projekcie cele wymagają doprecyzowania, gdyż są zbyt mało szczegółowe. Mierniki efektywności odpowiadają wskazanym celom. Populacja docelowa, która ma zostać objęta szczepieniami wydaje się być przeszacowana. W oszacowaniach nie uwzględniono osób z grup ryzyka, które nie kwalifikują się programu. Biorąc pod uwagę częściową odpłatność rodziców/opiekunów należy przypuszczać, że frekwencja w programie będzie znacznie niższa od zakładanej.

Zaplanowane w programie interwencje pozostają zgodne z aktualnymi rekomendacjami i wytycznymi. Ograniczeniem proponowanej interwencji jest nieuwzględnienie informacji nt. ewentualnego wystąpienia niepożądanych odczynów poszczepiennych i instrukcji postępowania w ich zakresie. Rodzice/opiekunowie prawni powinni zostać poinformowani o sposobie postępowania w takich przypadkach.

W projekcie zaplanowano monitorowanie programu. Potrzebna jest modyfikacja programu w zakresie oceny jego efektywności, która powinna bazować na danych dotyczących zapadalności na choroby pneumokokowe, a nie frekwencji w programie. Ocenę tę należy też uzupełnić o wszystkie rozważane mierniki efektów. Proszę mieć na uwadze, że powinna ona w sposób wiarygodny określić wpływ podjętych działań na zdrowie populacji. Poza tym doprecyzowania wymaga opis sposobu zgłaszania uwag dotyczących jakości realizowanych w ramach programu świadczeń.

Budżet przeznaczony na realizację został oszacowany mało precyzyjnie i budzi zastrzeżenia. Niejasny jest przyjęty koszt szczepionki, gdyż wydaje się on być przeszacowany lub nie uwzględniać dopłaty



uczestników programu. Nie wyszczególniono także składowych kosztów związanych z akcją promocyjną oraz podaniem i monitorowaniem szczepienia. W oszacowaniach uwzględniono najprawdopodobniej przeszacowaną liczbę uczestników programu, która przekłada się na zawyżenie kosztów realizacji programu.

### **Przedmiot opinii**

Przedmiotem opinii jest projekt programu polityki zdrowotnej dotyczący profilaktyki zakażeń pneumokokowych w gminie Garbatka-Letnisko. Koszt realizacji programu wynosi ok. 177 390,00, zaś okres realizacji to lata 2017-2019.

Opinia Prezesa Agencji została przygotowana w oparciu o ocenę technologii medycznej proponowanej w ramach programu polityki zdrowotnej zgodnie z kryteriami zawartymi w art. 31a ust. 1 i art. 48 ust. 4 ustawy o świadczeniach wraz z oceną założeń projektu programu polityki zdrowotnej, które wspierają efektywność kliniczną i kosztową technologii medycznej planowanej w programie.

### **Ocena projektu programu polityki zdrowotnej**

#### Znaczenie problemu zdrowotnego

Przedstawiony projekt programu polityki zdrowotnej dotyka ważnego problemu, jakim jest zakażenie pneumokokowe wśród dzieci. Program ten realizuje priorytety zdrowotne takie jak: „zwiększenie skuteczności zapobiegania chorobom zakaźnym i zakażeniom”, „zmniejszenie zachorowalności i przedwczesnej umieralności z powodu przewlekłych chorób układu oddechowego” oraz „poprawa jakości i skuteczności opieki zdrowotnej nad matką, noworodkiem i dzieckiem do lat 3”.

W projekcie wskazano ogólne dane epidemiologiczne dotyczące zachorowań w Polsce i na świecie. Nie wskazano danych dotyczących zachorowań w gminie Garbatka-Letnisko, co warto uzupełnić, aby umożliwić określenie skali problemu w regionie.

Aktualne informacje Państwowego Zakładu Higieny wskazują, że w 2014 r. odnotowano 715 zachorowań na Inwazyjną Chorobę Pneumokokową (IChP), natomiast współczynnik zapadalności na 100 000 ludności Unii Europejskiej oszacowano na 1,86. Z kolei zgodnie z danymi Krajowego Ośrodka Referencyjnego ds. Diagnostyki Bakteryjnych Zakażeń Ośrodkowego Układu Nerwowego (KOROUN, marzec 2014) opracowano charakterystykę inwazyjnej choroby pneumokokowej w Polsce w latach 2009-2013. Badaniem objęto wszystkie inwazyjne izolaty *Streptococcus pneumoniae* zebrane przez KOROUN do 2013 roku. Izolaty zidentyfikowano i serotypowano rutynowymi metodami. Na podstawie zbadanych 300 próbek najwyższą zapadalność na IChP zanotowano u dzieci poniżej 1 roku życia, która wynosiła 4,65/100 000. U dzieci 0-23 miesiące zapadalność wynosiła 3,85/100 000, a u dzieci 0-59 miesięcy – 2,99/100 000.

#### Cele i efekty programu

Głównym celem programu jest zapobieganie inwazyjnej chorobie pneumokokowej oraz poprawa stanu zdrowia dzieci poprzez przeprowadzenie skutecznych szczepień przeciwko zakażeniom pneumokokowym w Gminie Garbatka-Letnisko. Przedstawiono również 7 celów szczegółowych, które są uzupełnieniem celu głównego.

Przedstawione cele są zbyt ogólne i nie spełniają kryteriów teorii SMART, zgodnie z którą powinny być szczegółowy (zawierający czytelny przekaz), mierzalny (liczbowe określenie stopnia jego realizacji), realistyczny (możliwy do osiągnięcia), ambitny/atrakcyjny i terminowy (określony w czasie). Oczekiwane efekty programu pozostają w zgodzie z celami.

Mierniki efektywności odpowiadają wskazanym celom. Ważne jest, by mierzone wartości dotyczące zachorowań na infekcje pneumokokowe, współczynników hospitalizacji i chorobowości oraz odnosiły się do sytuacji przed wprowadzeniem programu i po jego zakończeniu. Dodatkowo uzasadniony byłby pomiar efektywności programu m. in. w zakresie liczby działań niepożądanych występujących w wyniku zaszczepienia.

#### Populacja docelowa

Populację docelową programu stanowią dzieci w wieku 0-2 lat zamieszkałe na terenie gminy Garbatka-Letnisko (zameldowane na pobyt stały lub czasowy), nie należące do grupy podwyższonego ryzyka zachorowania na inwazyjną chorobę pneumokokową, które dotąd nie zostały uodpornione przeciw pneumokokom. Kryteriami kwalifikacji uczestników do programu są dodatkowo pisemna zgoda rodzica/opiekuna prawnego dziecka na szczepienie oraz brak przeciwwskazań lekarskich do zaszczepienia. Kwalifikacji do programu będą dokonywali pracownicy opieki zdrowotnej.

Na podstawie liczby urodzeń dzieci w latach poprzednich oszacowano liczbę dzieci kwalifikujących się do programu – ok. 47 dzieci rocznie. W pierwszym roku wdrażania programu (rok 2017) szczepieniem mają zostać objęte dzieci z trzech roczników (2015 i 2016 oraz sukcesywnie dzieci z roku 2017). Jedynie dla pierwszego roku przyjęto, że liczba zaszczepionych dzieci będzie mniejsza, gdyż część z nich należy do grup podwyższonego ryzyka, a część została zaszczepionych przez rodziców przed rozpoczęciem programu. Proszę zwrócić uwagę, że oszacowania liczby uczestników szczepień w pierwszym roku (78 dzieci z roczników 2015 i 2016) są niespójne z zakładanymi odsetkami dzieci, które nie będą zaszczepione (5% dzieci z grup wysokiego ryzyka i 5% zaszczepionych indywidualnie). Dla kolejnych lat przyjęto stałą liczbę 47 dzieci rocznie, nie uwzględniając liczby dzieci niekwalifikujących się do programu ze względu na obecność w grupie ryzyka.

Należy zwrócić uwagę na fakt, że udział dzieci jest częściowo odpłatny (1/3 kosztów szczepionki ponoszą ich rodzice/opiekunowie), co może być ważnym czynnikiem, który może wpłynąć na obniżenie frekwencji. Biorąc pod uwagę wysokie koszty oraz skromną akcję informacyjną wątpliwe jest zakładanie 100% udziału w programie. Poza tym, jest to niespójne z fragmentem programu, w którym napisano, że „podjęcie szerokich akcji informacyjnych oraz indywidualnych zaproszeń do programu może wpłynąć na podniesienie frekwencji do 60-70%”.

Obecnie w Polsce szczepienia przeciw pneumokokom finansowane są ze środków publicznych jedynie w grupach wysokiego ryzyka dzieci do lat 5. W pozostałych przypadkach szczepienia są zalecane przez MZ, ale nie są finansowane. W założeniu projektu zamieszczono informacje, że do programu zostaną włączone osoby, które nie są objęte szczepieniami finansowanymi ze środków publicznych.

W opiniach eksperckich wskazuje się, że jednym z głównych warunków wpływających na maksymalizację efektywności programu szczepień jest właściwy wybór grupy wiekowej. Wskazana w projekcie populacja docelowa jest zgodna z grupą wyznaczoną przez producenta szczepionki. Wczesne zaszczepienie dziecka może przyczynić się do redukcji 65% hospitalizacji z powodu pneumokokowego zapalenia płuc u dzieci w pierwszym roku życia.

#### Interwencja

Przewidziana w programie interwencja zakłada realizację szczepień ochronnych przeciwko pneumokokom szczepionką skoniugowaną Prevenar 13, zawierającą 13 serotypów bakterii *Streptococcus pneumoniae*. Schemat dawkowania zależy od wieku dziecka: niemowlęta od 6 tyg. do 6 m. ż. - 3 dawki + dawka przypominająca, dzieci powyżej 7 m. ż. – 2 dawki + dawka przypominająca, a dzieci w wieku 12-23 m. ż. – 2 dawki szczepionki. Na potrzeby oszacowania budżetu przyjęto, że uczestnik programu korzysta średnio ze schematu: 2 dawki + dawka przypominająca.

W programie zaplanowano również prowadzenie działań promocyjno-informacyjnych, polegające na rozpowszechnieniu informacji na temat programu poprzez stronę internetową Gminy Garbatka-Letnisko, na tablicach ogłoszeń realizatora zadania, oraz przekazywaniu informacji przez lekarzy podstawowej opieki zdrowotnej i pielęgniarki środowiskowe. Przedstawione działania mogą nie być wystarczające do osiągnięcia zakładanej wyszczepialności. W celu dotarcia z informacją o programie do wszystkich zainteresowanych należałoby wykorzystać również inne sposoby przekazania informacji, np. indywidualne zaproszenia do uczestnictwa w programie, wykorzystanie mediów społecznościowych czy też plakatów informujących o programie. Warto podkreślić, że dobrze zorganizowana promocja programu istotnie wpływa na uzyskanie równego dostępu do oferowanych świadczeń zdrowotnych.

#### Monitorowanie i ewaluacja

Ocena zgłaszalności do programu odbędzie się na podstawie listy osób, które ukończyły cykl szczepień. Informacja o wysokości frekwencji szacowana będzie na podstawie listy uczestnictwa w trakcie trwania programu oraz po jego zakończeniu. Należy zaznaczyć, że informacja o frekwencji służy monitorowaniu zgłaszalności do programu, a nie ocenie jakości świadczeń, co zostało błędnie zaznaczone w projekcie programu. Warto odnieść uzyskaną wartość do danych o liczbie szczepień z lat poprzednich oraz określić liczbę osób, które nie zostały zaszczepione z powodu przeciwwskazań lekarskich.

Ocena jakości udzielanych świadczeń zostanie przeprowadzona na podstawie pisemnych uwag, zgłaszanych przez uczestników do organizatorów badania. O możliwości zgłaszania uwag zostanie poinformowany każdy z uczestników.

Zgodnie z przedstawionym projektem ocena efektywności ma być przeprowadzona na podstawie analiz statystycznych (PZH) oraz poziomu frekwencji. Jest to podejście niewłaściwe, gdyż frekwencja nie jest wskaźnikiem efektywności. Ocena efektywności powinna bazować na danych dotyczących zapadalności na choroby pneumokokowe. Należy mieć na uwadze, że ocena efektywności powinna w sposób wiarygodny i obiektywny przedstawiać wpływ podjętych działań na zdrowie populacji, w związku z tym zasadne jest określenie liczby zakażeń pneumokokowych w populacji docelowej i w populacji osób dorosłych i odniesienie uzyskanych wyników do sytuacji przed szczepieniami, oszacowanie odsetka hospitalizacji spowodowanej ciężkimi przypadkami zakażeń, oszacowanie kosztów przeznaczanych na leczenie zakażeń w odniesieniu do sytuacji z lat ubiegłych.

#### Warunki realizacji

W przedmiotowym projekcie programu polityki zdrowotnej przedstawiono części składowe, etapy i działania organizacyjne.

W projekcie przedstawiono kompetencje i warunki niezbędne do realizacji programu, zaś realizator programu zostanie wyłoniony w konkursie ofert. W projekcie odniesiono się do sposobu zakończenia udziału w programie. Zakończenie udziału w programie jest możliwe na każdym etapie programu na życzenie rodziców dziecka. Nie uwzględniono informacji nt. ewentualnego wystąpienia niepożądanych odczynów poszczepiennych i instrukcji postępowania w ich zakresie. Konieczne jest uzupełnienie programu w tym zakresie.

Należy podkreślić, że konieczne jest, aby rodzice/opiekunowie szczepionych dzieci zostali poinformowani o możliwych odczynach poszczepiennych, sposobie postępowania oraz miejscu, gdzie można się zgłosić w razie ewentualnych działań niepożądanych (już poza programem).

Koszty całkowite przeznaczone na realizację programu w latach 2017-2019 wynoszą 177 390 zł. Oszacowanie kosztów jest bardzo nieprecyzyjne i wzbudza wiele zastrzeżeń. Koszt jednej dawki oszacowano na 270 zł, a koszt jednostkowy został oszacowany na nie więcej niż 810 zł przy założeniu 2-dawkowego podawania szczepionki oraz dawki przypominającej. Przy oszacowaniu kosztów jednostkowego wskazano, że zawarty w nim jest koszt kwalifikacji do szczepienia, podania szczepienia, monitorowania, wydruk zgód na udział w programie oraz koszt akcji promocyjno-edukacyjnej, ale nie określono ile te składowe kosztów wyniosą. Wyliczenia te budzą zastrzeżenia, gdyż przy wskazanych wartościach ceny jednej dawki koszt jednostkowy pokryje jedynie koszt szczepionki i brak jest oszacowań kosztów pozostałych elementów programu. Ponadto, nie odniesiono się do zapisu mówiącego o 33% odpłatności rodziców/opiekunów. Jeśli przyjąć, że wskazana cena (270 zł) stanowi część opłacaną przez gminę, oznaczałoby, że cena szczepionki przekracza 400 zł, co jest ceną znacznie przekraczającą cenę rynkową leku Prevenar 13. Warto również dodać, że oszacowany koszt zakłada bardzo dużą, praktycznie 100% frekwencję w programie.

#### **Wnioski z oceny technologii medycznej przeprowadzonej przez Agencję**

##### Problem zdrowotny

Pneumokoki to szeroko rozpowszechnione w środowisku patogeny, które mogą wywołać Inwazyjną Chorobę Pneumokokową (ICH) w postaci zapalenia opon mózgowych, zapalenia płuc lub bakteriemii, albo nieinwazyjną, skutkując ostrym zapaleniem ucha środkowego albo zatok. W Polsce,

nosicielami *Streptococcus pneumoniae* jest 80-98% dzieci w wieku 6 m. ż. – 5 r. ż. Zakażenie pneumokokami może mieć szczególnie ciężki przebieg u dzieci poniżej 5 r.ż.

Według danych Światowej Organizacji Zdrowia około 14,5 mln dzieci poniżej 5 r. ż. choruje rocznie na świecie na inwazyjne choroby pneumokokowe (ICHp), a blisko 1 mln dzieci w wieku od 1 m. ż. do 5 r. ż. rocznie umiera z ich powodu. *S. pneumoniae* jest przyczyną 11% zgonów wśród dzieci w wieku od 1 m. ż. do 5 r. ż. (wyłączając dzieci HIV dodatnie).

Według ostatnich badań epidemiologicznych zapadalność na inwazyjną postać choroby pneumokokowej u dzieci do 2 r. ż. wynosiła 19/100 000, do 5 r. ż. – 17,6/100 000. Według danych WHO wskaźniki te mogą być nawet 25-krotnie wyższe. Jedną z przyczyn tak dużych różnic pomiędzy danymi statystycznymi, a szacunkowymi może być fakt, że w Polsce nie pobierano materiału do badań bakteriologicznych. Najnowsze dane, zgromadzone w kilka lat po wprowadzeniu szczepień przeciwko pneumokokom, prezentują już zdecydowanie niższą zapadalność na ICHp. W populacji polskiej nosicielstwo *S. pneumoniae* wynosi 62% w grupie dzieci uczęszczających do żłobka i jedynie 22% wśród dzieci przebywających w domu.

#### Alternatywne świadczenia

W ramach świadczeń finansowanych ze środków publicznych, szczepienia przeciw pneumokokom są dostępne dla dzieci do 5 r. ż. o podwyższonym ryzyku zachorowania na ICHp. Do grup tych zaliczają się:

- Dzieci po urazie lub z wadami ośrodkowego układu nerwowego, przebiegającymi z wyciekami płynu mózgowo-rdzeniowego;
- Dzieci zakażone HIV;
- Dzieci po przeszczepie szpiku, przed lub po przeszczepieniu narządów wewnętrznych, lub przed lub po wszczepieniu implantu ślimakowego;
- Dzieci chorujące na przewlekłe choroby serca;
- Dzieci ze schorzeniami immunologiczno-hematologicznymi, w tym małopłytkowością idiopatyczną, ostrą białaczką, chłoniakami, sferocytozą wrodzoną;
- Dzieci z asplenią wrodzoną, dysfunkcją śledziony, po splenektomii lub po leczeniu immunosupresyjnym;
- Dzieci z przewlekłą niewydolnością nerek i nawracającym zespołem nerczycowym
- Dzieci z pierwotnymi zaburzeniami odporności;
- Dzieci z chorobami metabolicznymi, w tym cukrzycą;
- Dzieci z przewlekłymi chorobami płuc, w tym astmą;
- Dzieci od 2 m. ż. do 12 m. ż. urodzone przed 37 tygodniem ciąży lub urodzone z masą urodzeniową poniżej 2500 g.

W pozostałych przypadkach szczepienia są zalecane, ale nie finansowane ze środków publicznych.

#### Ocena technologii medycznej

Odnaleziona publikacja dotycząca sytuacji w Wielkiej Brytanii stwierdza, że powszechne szczepienie dzieci przeciwko *S. pneumoniae* ma efekt szerszy niż tylko zapobieganie zakażeniom i ich powikłaniom, ale przekłada się również na indukowanie odporności zbiorowej. Szczepienie dzieci zapobiega rozprzestrzenianiu się zakażeń np. w przedszkolach, a także w rodzinach, czyli zakażaniu podatnych osób starszych. Ograniczenie zachorowań prowadzi do zmniejszenia konieczności stosowania antybiotyków, co ogranicza oporność antybiotykową bakterii.

Zgodnie z odnalezionym przeglądem systematycznym Cochrane Lucero 2009 efektywność PCV w zapobieganiu ICHp wywołanym przez serotypy zawarte w szczepionce oszacowano na 80%, zaś w zapobieganiu ICHp wywołanym przez wszystkie serotypy - na 58%.

Z ostatnio publikowanych badań nie można sformułować jednoznacznych wniosków co do efektywności kosztowej stosowania szczepionek skoniugowanych (PCV10 i PCV13).

Na podstawie zestawienia danych europejskiego CDC, wśród wymienionych 31 krajów, większość stosuje w kalendarzach szczepień schemat 2+1. W Polsce szczepienia przeciwko pneumokokom nie są wpisane do kalendarza, a zalecenia zawarte w Programie Szczepień Ochronnych odwołują się do Charakterystyki Produktu Leczniczego. Obecnie, w większości krajów europejskich stosowana jest szczepionka 10-walentna lub 13-walentna. Poza Europą narodowe programy szczepień w USA, Kanadzie, Australii i Nowej Zelandii uwzględniają podawanie dzieciom szczepionki przeciw pneumokokom (w USA od 2010 roku rekomendowana jest szczepionka 13-walentna, podobnie w Kanadzie i Australii).

Szczepienie przeciw pneumokokom można rozpoczynać w pierwszym kwartale życia, aby już w drugim półroczu życia uzyskać ochronne miana przeciwciał. Odwlekanie szczepienia (najczęściej ze względów finansowych) do momentu, gdy można podać np. jedną dawkę (>2 r. ż.) jest postępowaniem ryzykownym, gdyż największa zachorowalność na IChP występuje właśnie w pierwszych dwóch latach życia.

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

#### **Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 48a ust. 1 i 3 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2015 r., poz. 581), z uwzględnieniem raportu: AOTMiT-OT-441-84/2016 „P Program profilaktyki zakażeń pneumokokowych wśród dzieci do 2 r.ż. w oparciu o szczepienia przeciwko pneumokokom w Gminie Garbatka-Letnisko na lata 2017 - 2019 z zastosowaniem szczepionki skoniugowanej 13-walentnej” realizowany przez: Garbatka-Letnisko, Warszawa, czerwiec 2016 oraz aneksu do raportów szczegółowych „Programy profilaktyki zakażeń pneumokokowych – wspólne podstawy oceny – marzec 2014 r.