



Opinia Prezesa
Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
nr 159/2016 z dnia 23 sierpnia 2016 r.
o projekcie programu polityki zdrowotnej pn. „Nie nowotworom
u dzieci” realizowany przez powiat Łęczyński

Po zapoznaniu się z opinią Rady Przejrzystości negatywnie opiniuję projekt programu polityki zdrowotnej „Nie nowotworom u dzieci”.

Uzasadnienie

Przedstawiony projekt programu polityki zdrowotnej odnosi się do kwestii nowotworów występujących w populacji dziecięcej.

Na negatywną opinię Prezesa Agencji składają się m.in.: brak dowodów naukowych wskazujących na zasadność prowadzenie badań przesiewowych w kierunku nowotworów u dzieci, możliwość powielania świadczeń medycznych oraz brak spójności pomiędzy poszczególnymi elementami programu.

W projekcie określono cele i mierniki efektywności jednak wymagają one poprawy. W nadesłanym dokumencie pojawiają się niespójności dotyczące celu głównego, zaś cele szczegółowe odnoszą się do interwencji, które nie zostały zaplanowane w projekcie.

Programem planuje się objąć 2,7% populacji docelowej, co może nie pozwolić na uzyskanie widocznych efektów zdrowotnych. Ponadto w projekcie nie wskazano kryteriów kwalifikacji do programu, co stanowi jego ograniczenie.

Zaplanowane interwencje zakładają prowadzenie badań ultrasonograficznych, jednak nie wskazuje się szczegółów dotyczących tych interwencji (m.in. nie wskazano kto będzie odpowiedzialny za wykonywanie badań, kto będzie odpowiedzialny za informowanie pacjentów o przygotowaniu do badania). Ponadto nie wskazano na jakich zasadach uczestnicy będą kierowani do dalszej diagnostyki i leczenia, co w przypadku chorób nowotworowych jest szczególnie istotne.

Należy podkreślić, że odnalezione wytyczne podkreślają wykonywanie diagnostyki obrazowej w kierunku nowotworów dziecięcych u pacjentów z podejrzeniem nowotworu i wysypywaniem danych objawów.

W związku z brakiem wytycznych wskazujących na zasadność przesiewu w kierunku ww. chorób oraz ryzyka podwójnego finansowania świadczeń zasadna jest zmiana zaplanowanych świadczeń na działania edukacyjne (które nie zostały zaplanowane w projekcie) oraz podnoszenie kwalifikacji lekarzy pediatrów.

Ewaluacja programu wymaga poprawy.

W przedstawionym budżecie zastrzeżenia wzbudza oszacowanie kosztu jednostkowego, który wydaje się być niewystarczający na przeprowadzenie wszystkich badań u jednego uczestnika. Należy także wskazać koszt działań informacyjnych.



Przedmiot opinii

Przedmiotem opinii jest projekt programu polityki zdrowotnej dotyczący wczesnego wykrywania nowotworów u dzieci. Budżet przeznaczony na realizację programu wynosi 10 000 zł, zaś okres realizacji nie został precyzyjnie określony (wrzesień lub sierpień - październik 2016 r.).

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

Projekt programu dotyczy wczesnego wykrywania chorób nowotworowych u dzieci. Wpisuje się on w jeden z priorytetów zdrowotnych: zmniejszenie zachorowalności i przedwczesnej umieralności z powodu nowotworów złośliwych.

Problem zdrowotny został przedstawiony w sposób ogólny i zdawkowy. Nie odniesiono się w sposób wystarczający do etiologii, przebiegu i skutków choroby nowotworowej. Nie przedstawiono żadnych informacji dotyczących nowotworów szyi, jamy brzusznej czy moszny. W sposób niewystarczający odniesiono się do sytuacji epidemiologicznej chorób nowotworowych wśród dzieci w rejonie i kraju.

Choroby nowotworowe u dzieci są o wiele rzadszym problemem niż u dorosłych. Stanowią one blisko 2% nowotworów w populacji generalnej. Wśród dzieci poniżej 15 roku życia pozostają nadal drugą przyczyną zgonów. Zgodnie z danymi przedstawionymi przez Polskie Towarzystwo Onkologiczne standaryzowany współczynnik zachorowań na nowotwory dzieci w Polsce oscylował w granicach 134,1/1 milion osób w 2006 r. Dominującymi nowotworami były białaczki oraz nowotwory układu nerwowego.

Cele i efekty programu

Celem głównym programu jest zwiększenie dostępności specjalistycznych badań ultrasonograficznych. Dodatkowo wskazano 4 cele szczegółowe. W opisie problemu zdrowotnego, sformułowano cel główny programu jako wczesne wykrywanie zmian nowotworowych u dzieci w wieku od 9 mies.ż. do 6 r.ż., zatem nie jest do końca jasne jaki jest główny cel programu, co należy wyjaśnić. W celach szczegółowych natomiast wskazuje się na podnoszenie wiedzy uczestników, jednak w projekcie nie zaplanowano działań edukacyjnych. Określając cele należy zwrócić uwagę, by były zgodne z zasadą SMART, według której cel powinien być m. in. szczegółowy, mierzalny, osiągalny, istotny i terminowy.

Sformułowano 5 mierników efektywności, jednak nie odnoszą się one bezpośrednio do sformułowanych celów. Zaproponowane wskaźniki są przydatne przy ocenie frekwencji, a nie dostępności czy wczesnego wykrywania zmian nowotworowych. Liczba osób, u których stwierdzono zmiany chorobowe lub inne schorzenia oraz liczba osób, u których nie wykryto istniejącego procesu nowotworowego, które miały wykonane badania czy też liczba dzieci z fałszywie dodatnimi wynikami badań nie są właściwymi miernikami w kontekście dostępności do świadczenia, natomiast mogą być pomoce w ocenie wczesnego wykrywania zmian nowotworowych. Należy mieć na uwadze, że w przypadku zmiany celu głównego, należy zaktualizować również mierniki efektywności.

Populacja docelowa

Populację docelową programu stanowią dzieci zamieszkujące powiat łęczyński w wieku od 9 mies.ż. do 6 r.ż. W projekcie wskazano, że populacja kwalifikująca się do uczestnictwa wynosi 4 522 osób. Dane te są zbieżne z danymi GUS. Do udziału w programie planuje się zaprosić 125 osób, co stanowi 2,7% populacji docelowej.

W projekcie nie wskazano kryteriów kwalifikacji do programu, co należy uzupełnić. Wydaje się zasadne, aby o udziale decydował lekarz, który w trakcie wywiadu określi wskazania do wykonania danego badania.

Należy podkreślić, że w projekcie nie wskazano, czy działaniami programowymi zostaną objęci także rodzice/opiekunowie prawni dzieci. Wydaje się zasadne, aby grupa opiekunów została włączona do uczestnictwa, głównie w zakresie edukacji zdrowotnej.

Interwencja

W ramach programu wykonywane będą przesiewowe badania ultrasonograficzne szyi, jamy brzusznej oraz u chłopców – moszny. Nie wskazano jednak, czy każdy uczestnik będzie miał przeprowadzone wszystkie zaplanowane badania, czy też dostosowane będą one indywidualnie. Brakuje także informacji na temat osoby wykonującej badania oraz informacji dla uczestnika na temat przygotowania do badań.

Należy podkreślić, że nie odnaleziono dowodów naukowych, które wskazywałyby na zasadność wykonywania ww. badań w populacji bezobjawowej. W wytycznych podkreśla się natomiast zasadność wykonywania badań USG obok badań tomografii komputerowej, rezonansu magnetycznego oraz pozytronowej tomografii emisyjnej, w populacjach dzieci z podejrzeniem choroby nowotworowej. Wytyczne szczegółowo określają standardy postępowania w przypadku podejrzenia konkretnych nowotworów wieku dziecięcego oraz wskazują kryteria kwalifikacji do poszczególnych badań.

Należy także podkreślić, że zaproponowane badania są obecnie finansowane w ramach świadczeń gwarantowanych, realizowanych zarówno w ramach podstawowej opieki zdrowotnej jak i ambulatoryjnej opieki specjalistycznej. Istnieje zatem ryzyko podwójnego finansowania świadczeń już dostępnych.

W związku z brakiem wystarczających dowodów naukowych wskazujących na zasadność prowadzenia przesiewu nowotworowego w populacji dziecięcej oraz finansowaniem świadczeń w ramach diagnostyki poszerzonej zasadna jest zmiana interwencji programowych na edukację zdrowotną mieszkańców i kształcenie kadry medycznej. W zaproponowanym kształcie program powinien skupiać się na obserwowaniu niepokojących objawów u dziecka, wykonywaniu regularnych kontroli lekarskich, edukowaniu na temat czynników ryzyka wystąpienia choroby nowotworowej. Ponadto, w ramach działań istotne jest podnoszenie kwalifikacji kadry medycznej, w szczególności lekarzy pediatrów, tak aby w przypadku pojawienia się objawów pacjenci kierowani było jak najszybciej do badań diagnostycznych.

Monitorowanie i ewaluacja

Projekt programu zakłada jego monitorowanie i ewaluację, jednak element ten wymaga doprecyzowania.

Monitorowanie w zakresie oceny zgłaszalności zostało zaplanowane poprawnie. W zakresie oceny jakości udzielanych świadczeń warto uwzględnić także ocenę programu przez uczestników.

W projekcie programu zaznaczono, że do oceny efektywności (ewaluacji programu) będzie brana pod uwagę liczba osób, u których wykryto nowotwory lub inną chorobę, a także liczbę osób skierowanych na dodatkowe badania. Należy wskazać, że określone wskaźniki nie są wystarczające w ocenie efektywności programu. W ramach ewaluacji programu należy określić wpływ podjętych działań na zdrowie populacji, np. określenie czy zaszła zmiana w zapadalności na nowotwory dziecięce w populacji ogólnej, wskazanie odsetka osób zdiagnozowanych, które skorzystały z dalszej diagnostyki i terapii oraz jaki procent udało się skutecznie wyleczyć, pokreślenie zmiany w świadomości zdrowotnej uczestników.

Należy mieć na uwadze, że istotne jest zapewnienie trwałości efektów, poprzez skuteczną edukację pacjentów, tak aby po zakończeniu programu posiadali oni odpowiednią wiedzę oraz byli w stanie zidentyfikować niepokojące objawy pojawiające się u dzieci.

Warunki realizacji

Wskazanie wykonawcy programu jest sprzeczne z zapisami ustawowymi, ustalającymi, że realizator powinien być wybrany w drodze konkursu ofert. W projekcie nie wskazano kompetencji realizatora programu oraz warunków, jakie powinien on spełniać, co należy uzupełnić.

W celu objęcia programem jak największej liczby uczestników, zaplanowano przeprowadzenie działań informacyjno-promocyjnych.

Zakończenie udziału w programie wiąże się kierowaniem na dalszą diagnostykę i leczenie w ramach NFZ. Nie zakłada się jednak możliwości zakończenia udziału w programie w dowolnym jego momencie. Nie wskazano również w jaki sposób pacjent (w tym przypadku rodzice/opiekunowie prawni) będzie kierowany do dalszej diagnostyki, czy w ramach programu zostanie zapewnione szybkie przeprowadzenie diagnostyki pogłębionej, czy też uczestnik we własnym zakresie będzie zobowiązany do zgłoszenia się do poradni specjalistycznej. Należy podkreślić, że w przypadku prowadzenia diagnostyki chorób nowotworowych niezbędne jest odpowiednie zaopiekowanie się uczestnikiem z niepokojącym wynikiem badań, tak aby zmniejszyć jego dyskomfort i stres związany z zaistniałą sytuacją oraz umożliwić szybkie wdrożenie procesu terapeutycznego.

Budżet całkowity powiatu łęczyńskiego, przeznaczony na realizację założeń projektu programu, został oszacowany na 10 tys. zł. Określono również koszt wykonania badań u jednego dziecka na 80 zł, który wydaje się być niewystarczający na przeprowadzenie wszystkich badań u 1 uczestnika programu. W projekcie nie oszacowano kosztów przewidzianej akcji informacyjnej, co warto uzupełnić.

Wnioski z oceny technologii medycznej przeprowadzonej przez Agencję

Problem zdrowotny

Nowotwory u dzieci występują bardzo rzadko, ale są drugą przyczyną zgonów wśród dzieci poniżej 15 roku życia. Umiejscawiają się głównie w szpiku, układzie chłonnym, 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 drobnookrągłokomórkowe. Cechują się dużą frakcją wzrostową i dynamiką wzrostu.

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

Zgodnie z treścią Rozporządzenia Ministra Zdrowia z dnia 29 grudnia 2014 r. zmieniającego rozporządzenie w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu podstawowej opieki zdrowotnej lekarz podstawowej opieki zdrowotnej może zlecić następującą diagnostykę ultrasonograficzną:

- USG tarczycy i przytarczyc;
- USG ślinianek;
- USG nerek, moczowodów, pęcherza moczowego;
- USG brzucha i przestrzeni zaotrzewnowej, w tym wstępnej oceny gruczołu krokowego
- USG obwodowych węzłów chłonnych.

Zgodnie z Rozporządzeniem MZ ws. świadczeń gwarantowanych w ramach Ambulatoryjnej Opieki Specjalistycznej również wykonywane są badania USG.

Ocena technologii medycznej

W toku wyszukiwania odnaleziono m.in. wytyczne: *Referral Guidelines for Suspected Cancer, Polskiego Towarzystwa Onkologii Klinicznej, American College of Radiology oraz Society for Pediatric Radiology.*

Należy mieć również na uwadze różnorodność nowotworów dziecięcych, a co za tym idzie różne metody ich diagnozowania. Należy wziąć pod uwagę sposoby kwalifikowania do badania, ze szczególnym uwzględnieniem grup wysokiego ryzyka wystąpienia choroby nowotworowej – zespoły genetyczne i wady wrodzone towarzyszące poszczególnym nowotworom, w szczególności guzom mózgu, w których okres od wystąpienia pierwszych objawów do ustalenia rozpoznania jest najdłuższy.

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, 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.

Wytyczne kliniczne oraz wytyczne eksperckie zgodnie wskazują, że w podanych wskazaniach zasadne jest stosowanie również innych interwencji: badań laboratoryjnych, badań genetycznych, USG, CT, MR, PET.

Istotną kwestią w omawianym zagadnieniu jest również edukacja zdrowotna głównie rodziców/opiekunów dzieci. Autor projektu zaznacza kwestię edukacyjną, jednak nie przedstawia szczegółów jej organizacji. W profilaktyce nowotworowej duże znaczenie ma świadomość opiekunów oraz regularne badania kontrolne dzieci. Istotna jest również stała obserwacja zachowań dziecka i wysyłanych przez niego sygnałów dotyczących odczuwanych dolegliwości. Najlepszą drogą edukacji rodziców/opiekunów są informacje przekazywane w poradniach zdrowia dzieci w trakcie prowadzonych bilansów, oraz w placówkach oświatowo-wychowawczych (żłobki, przedszkola). Natomiast regionalne projekty wczesnej diagnostyki nowotworowej poza badaniami powinny skupiać się także na przeprowadzeniu rzetelnej kampanii informacyjnej.

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-441-143/2016, „Program polityki zdrowotnej „Nie nowotworom u dzieci” realizowany przez: Powiat Łęczyński”, Warszawa, sierpień 2016 r. oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy w zakresie wczesnej diagnostyki obrazowej nowotworów u dzieci– wspólne podstawy oceny”, lipiec 2012 r., oraz Opinii Rady Przejrzystości nr 250/2016 z dnia 22 sierpnia 2016 roku o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej »Nie nowotworom u dzieci«” powiatu łęczyńskiego.