



## Rekomendacja nr 88/2022 z 30 września 2022 r.

### Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w sprawie zasadności zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej: operacja stożka rogówki metodą *cross-linking* jako świadczenia gwarantowanego z zakresu leczenia szpitalnego

**Prezes Agencji rekomenduje** zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej: operacja stożka rogówki metodą *cross-linking* jako świadczenia gwarantowanego z zakresu leczenia szpitalnego.

#### Uzasadnienie rekomendacji

Stożek rogówki zwykle diagnozuje się u osób młodych. Jest to choroba, której objawem jest stopniowe pogarszanie wzroku. Progresja choroby trwa do 40 roku życia. W zaawansowanym stadium choroby korekcja za pomocą okularów lub soczewek kontaktowych nie jest możliwa, a w przypadku znacznej progresji ostatnią opcją leczenia jest przeszczep rogówki.

Zabieg metodą *cross-linking* (CXL) ma na celu zwiększenie wytrzymałości mechanicznej rogówki przez sieciowanie kolagenu jej istoty właściwej. Wyniki badań naukowych wskazują na skuteczność interwencji w spowalnianiu tempa progresji choroby. W przeglądzie systematycznym RCT (PS) Kobashi 2017 interwencja CXL w porównaniu z brakiem leczenia w ramieniu kontrolnym wykazała istotnie statystycznie lepsze wyniki dla najlepszej ostrości wzroku z korekcją okularową. Po 12 miesiącach obserwacji średnia różnica wartości skorygowanej ostrości wzroku dla CXL vs komparator wyniosła -0,09 logMAR. Wyniki dla tego punktu końcowego uzyskane w zidentyfikowanych RCT są zbieżne z wnioskami PS Kobashi 2017. Surogatowym punktem końcowym, bezpośrednio powiązany z CXL jest pomiar krzywizny rogówki ( $K_{max}$ ). W badaniach omówionych w PS Kobashi 2017 wykazano dla  $K_{max}$  przewagę dla CXL względem braku leczenia. Wyniki prezentowane w każdym z pozostałych włączonych do analizy RCT także wskazują na korzyści dla pacjenta. Raportowane wartości  $K_{max}$  były jednak zróżnicowane (od -2,32 do -0,46 D). Dla populacji pediatrycznej odnaleziono jedynie dwa badania. W obu zaobserwowano korzyść w zmianie  $K_{max}$  dla grupy CXL względem braku leczenia. Siłę wnioskowania zwiększa długi okres obserwacji, wynoszący 5 (Or 2018) i 7 lat (Simantov 2021).

Wykonaniu CXL mogą towarzyszyć zdarzenia niepożądane. W literaturze poddanej analizie zidentyfikowano m.in. zmętnienie rogówki, bakteryjne zapalenie rogówki czy ból oka. W badaniach włączonych do analizy zdarzenia występowały nawet u 100% pacjentów. Część z nich miała charakter przejściowy.

Pod uwagę wzięto także czynnik ekonomiczny. Zgodnie z wynikami większości odnalezionych analiz ekonomicznych, wykonanie CXL w porównaniu do konwencjonalnego leczenia lub braku leczenia jest opłacalne kosztowo – oszacowane wartości ICER nie przekraczają aktualnego progu opłacalności w Polsce, przy czym wnioskowanie jest ograniczone w związku z koniecznością przełożenia modelu na warunki polskie. Liczebność populacji docelowej oszacowano na od 188 do 500 osób rocznie. Koszt pojedynczego zabiegu określono na 2 500 PLN. Przy wykonaniu zabiegu u każdego pacjenta na oboje oczu (obowiązkowo z zachowaniem odstępu czasowego pomiędzy pierwszym i drugim zabiegiem), obciążenie budżetu płatnika publicznego mieści się w zakresie od 0,9 do 2,5 mln PLN.

Za pozytywnym rozstrzygnięciem przemawia także stan finansowania CXL w innych krajach. Jest to świadczenie finansowane co najmniej częściowo ze środków publicznych w krajach takich jak Australia, Chorwacja, Estonia, Francja i Niemcy.

Rozpatrzono także stanowisko Rady Przejrzystości, zalecenia zawarte w wytycznych klinicznych i rekomendacjach towarzystw naukowych. Wypowiadają się one pozytywnie o zastosowaniu CXL w leczeniu progresywnego stożka rogówki u osób dorosłych oraz leczeniu stożka rogówki o wysokim ryzyku progresji u dzieci i młodzieży.

### **Przedmiot wniosku**

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy oceny zasadności zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej: „Operacja stożka rogówki metodą *cross-linking*” dedykowanego pacjentom ze stożkiem rogówki (ICD-10 H18.6) jako świadczenia gwarantowanego z zakresu leczenia szpitalnego.

### **Problem zdrowotny**

Stożek rogówki (ang. *keratoconus*, kod ICD-10: H18.6 Stożek rogówki) to niezapalne, dystroficzne, postępujące schorzenie rogówki, w wyniku którego dochodzi do zmniejszenia grubości rogówki i jej uwypuklenia stożkowego, z towarzyszącym nieregularnym astygmatyzmem. Stożek rogówki zwykle diagnozuje się u osób młodych. Rozpoznanie w młodym wieku charakteryzuje się większą progresją, która może trwać do 40 roku życia. Wczesne objawy choroby obejmują rozmycie w polu widzenia, widzenie podwójne lub zamglone, którego nie da się skorygować za pomocą okularów lub soczewek kontaktowych. W miarę rozwoju choroby pojawiają się inne objawy takie jak np. zniekształcone i niewyraźne widzenie, trudności w skupieniu wzroku, światłowstręt czy problemy z dopasowaniem soczewek.

Przyczyna powstawania stożka rogówki nie jest znana. Wśród czynników zwiększających ryzyko rozwoju stożka rogówki wymienić można m. in. czynniki genetyczne, pocieranie oczu, przewlekłe zapalenie oka, katar sienny, astmę. Częstość występowania stożka rogówki u pacjentów z dodatnim wywiadem rodzinnym wynosi od 3,34 do 27,9%.

Diagnostyka obejmuje ogólną ocenę stanu zdrowia oka, określenie ostrości wzroku, krzywizny i grubości rogówki. W diagnostyce i ocenie progresji choroby wykorzystuje się pomiar krzywizny rogówki (keratometria maksymalna,  $K_{max}$ ). Wzrost tego wskaźnika z czasem wskazuje na progresję choroby.

Częstość występowania choroby w populacji szacuje się na 1:2 000. Stożek jest w większości przypadków chorobą obuoczną. U 50% pacjentów z rozpoznaniem choroby jednego oka w okresie 16 lat obserwacji dochodzi do rozwoju stożka w drugim oku. Ryzyko progresji jest największe w pierwszych 6 latach od rozpoznania.

### **Alternatywna technologia medyczna**

Na podstawie analizy wytycznych i stanowisk towarzystw naukowych, opinii ekspertów klinicznych oraz KŚOZ, wśród metod stosowanych w terapii stożka rogówki zidentyfikowano inne niż sieciowanie

włókien kolagenowych rogówki (CXL) opcje terapeutyczne: korekcję ostrości wzroku soczewkami kontaktowymi i szklami okularowymi, keratoplastykę pełnościenną, głęboką keratoplastykę warstwową przednią (in. przeszczepienie rogówki), implanty śródrogówkowe ICRS (ang. *intrastromal corneal ring segments*). Implanty ICRS nie są w Polsce finansowane ze środków publicznych.

Wymienione opcje terapeutyczne, z wyłączeniem przeszczepienia rogówki, mają na celu spowolnienie postępu choroby lub poprawę jakości życia przez skorygowanie wady wzroku. Konsultant Krajowy w dziedzinie okulistyki zaznacza, że korekcja okularowa i soczewki kontaktowe mogą skutecznie doprowadzić do poprawy widzenia przy ustabilizowanym stożku rogówki i nie wpływają na dynamikę progresji naturalnego przebiegu choroby.

W leczeniu stożka rogówki w Polsce wśród terapii, które są w całości lub częściowo finansowane ze środków publicznych, można wymienić: soczewki kontaktowe miękkie i twarde (wykaz wyrobów medycznych wydawanych na zlecenie) oraz przeszczepienie rogówki (lecznictwo szpitalne).

### **Opis wnioskowanego świadczenia**

Operacja stożka rogówki metodą cross-linking może być przeprowadzona według różnych protokołów. Jednym z protokołów jest CXL z usunięciem nabłonka (ang. „*epi-off CXL*”). Przebiega on w dwóch etapach. W pierwszym usuwana jest warstwa nabłonka z centralnej części rogówki. Następnie podaje się do rogówki ryboflawinę, która dzięki naświetleniu promieniowaniem UVA (optimum absorpcji przy  $\lambda = 365$  nm) wchodzi w reakcję z obecnym w rogówce kolagenem i tworzy z nimi wiązania krzyżowe. Intencją jest zwiększenie wytrzymałości mechanicznej tkanki poddanej zabiegowi, co ma prowadzić do spowolnienia progresji stożka rogówki. Zabieg przeprowadzany jest w warunkach sali operacyjnej. W Karcie Świadczenia Opieki Zdrowotnej wskazano, że świadczenie powinno być realizowane w lecznictwie szpitalnym.

Świadczenie opieki zdrowotnej „Operacja stożka rogówki metodą *cross-linking*” nie jest obecnie w Polsce finansowane ze środków publicznych.

### **Ocena skuteczności (klinicznej oraz praktycznej) i bezpieczeństwa**

*Ocena ta polega na zebraniu danych o konsekwencjach zdrowotnych (skuteczność i bezpieczeństwo) wynikających z zastosowania nowej terapii w danym problemie zdrowotnym oraz innych terapii, które w danym momencie są finansowane ze środków publicznych i stanowią alternatywne leczenie dostępne w danym problemie zdrowotnym. Następnie ocena ta wymaga określenia wiarygodności zebranych danych oraz porównania wyników dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa nowej terapii względem terapii już dostępnych w leczeniu danego problemu zdrowotnego.*

*Na podstawie powyższego ocena skuteczności i bezpieczeństwa pozwala na uzyskanie odpowiedzi na pytanie o wielkość efektu zdrowotnego (zarówno w zakresie skuteczności, jak i bezpieczeństwa), którego należy oczekiwać względem nowej terapii w porównaniu do innych rozważanych opcji terapeutycznych.*

W wyniku przeprowadzonego wyszukiwania odnaleziono osiem badań spełniających kryteria włączenia, w tym: jeden przegląd systematyczny RCT (Kobashi 2017), pięć badań eksperymentalnych z randomizacją (Larkin 2021, Meyer 2021, Bhattacharyya 2019, Malik 2017 i Hersh 2017) oraz dwa badania obserwacyjne z grupą kontrolną (Simantov 2021 i Or 2018).

Ocenianymi punktami końcowymi były m.in. pomiar krzywizny rogówki (keratometria maksymalna,  $K_{max}$ , jednostki: dioptrie – D) oraz ostrości wzroku (jednostki: logarytm minimalnej rozdzielczości kątowej – logMAR lub linie na tablicy Snellena). Ostrość wzroku bezpośrednio wpływa na jakość życia i jest tym samym punktem końcowym istotnym dla pacjenta. Wzrost wartości  $K_{max}$  wskazuje na progresję stożka rogówki i stanowi surogatowy (zastępczy) punkt końcowy.

## Skuteczność

### Najlepsza ostrość wzroku z korekcją

W PS Kobashi 2017 oceniano zmianę najlepszej ostrości wzroku z korekcją okularową. Okres obserwacji wyniósł 12 miesięcy. Do analizy włączono cztery badania, które w sumie objęły 253 oczu – 143 w ramieniu CXL i 110 w ramieniu kontrolnym. Wyniki syntezy ilościowej wykazały istotną statystycznie przewagę na korzyść ramienia CXL w porównaniu z brakiem leczenia (MD = -0,09 logMAR; 95%CI: -0,14, -0,04; p = 0,0005, I<sup>2</sup> = 0%).

Najlepszą ostrość wzroku z korekcją oceniano także w RCT: w Larkin 2021 odnotowano istotne statystycznie różnice między wartościami skorygowanej ostrości wzroku w grupie badanej względem grupy kontrolnej wykazano istotnie statystycznie mniejsze wartości skorygowanej ostrości widzenia w 18. mies. obserwacji (CXL vs kontrola (średnia±SD): 0,4±0,4 vs 0,6±0,6 logMAR; p = 0,002; 30 vs 28 oczu); w Bhattacharyya 2019 w 6. mies. po CXL wykazano istotne statystycznie różnice na korzyść grupy leczonej CXL względem kontroli (0,0674±0,1060 vs 0,2638±0,1218; p < 0,001; 39 vs 39 oczu); w Hersh 2017 w 12. mies. obserwacji odnotowano znamienne statystyczną różnicę na korzyść grupy oczu po CXL w porównaniu do grupy kontrolnej (39,4±11,7 vs 40,0±0,0 logMAR Letters Read; p < 0,01; 86 vs 2 [sic] oczu).

### Pomiar krzywizny rogówki (K<sub>max</sub>)

W PS Kobashi 2017 poddano zbiorczej analizie pięć badań porównujących CXL (n = 109) względem kontroli (n = 124). We wszystkich badaniach średnia różnica po 12 miesiącach obserwacji wskazywała na korzyść CXL względem kontroli (brak leczenia). Średnia różnica K<sub>max</sub> pomiędzy ramionami wynosiła od -2,32 do -0,46 D. Wynik można interpretować jako zahamowanie progresji stożka rogówki.

Wyniki RCT są spójne z PS Kobashi 2017 i wspierają wynikające z niego wnioski. Dla zmiany K<sub>max</sub> w porównaniu CXL względem kontroli istotnie statystycznie różnice na korzyść CXL odnotowano w czterech z pięciu badań, zaś w piątym z badań wynik nie był istotny statystycznie. Dodatkowo w większości badań odnotowano spadek K<sub>max</sub> w ramieniu CXL względem wartości początkowej, przy czym w jednym z badań istotny statystycznie spadek K<sub>max</sub> nie został odnotowany.

Z uwagi na wysoką heterogeniczność badań odstąpiono od syntezy ilościowej. Heterogeniczność wynikała ze zróżnicowanego profilu pacjenta (*baseline* dla K<sub>max</sub>) oraz okresów obserwacji w badaniach.

Dla populacji pediatrycznej dostępne są badania obserwacyjne o okresach obserwacji 7 lat (Simantov 2021) oraz 5 lat (Or 2018). W Simantov 2021 w ramieniu CXL odnotowano brak istotnej statystycznie zmiany K<sub>max</sub> (n = 30 oczu), zaś w ramieniu kontroli nastąpił wzrost istotny statystycznie (zmiana z 46,97 ±3,82 D na 49,5 ±3,26 D; n = 30 oczu). W Or 2018 w CXL wartość K<sub>max</sub> spadła (z 58,7 ±4,9 D do 57,6 ±4,2 D; n = 40 oczu), zaś w grupie kontrolnej odnotowano brak zmiany istotnej statystycznej (n = 40). Wyniki skuteczności praktycznej są zbieżne z wynikami skuteczności klinicznej.

### *Bezpieczeństwo*

W publikacjach włączonych do analizy odnotowano następujące zdarzenia niepożądane po CXL: ból oka, przekrwienie, podrażnienie oka, sterylne nacieki rogówkowe, łzawienie, fotofobia, efekt olśnienia (ang. *glare*), bakteryjne zapalenie rogówki, zmętnienie rogówki, blizny, fałdy śródbłonna, nieregularny nabłonek oka, niewyraźne widzenie i pogorszenie ostrości widzenia. Część działań niepożądanych miała charakter przejściowy i ustępowała podczas okresu obserwacji.

Najczęściej raportowanym zdarzeniem niepożądanym po zabiegu CXL było zmętnienie rogówki – zostało ono odnotowane w badaniach: Simantov 2021 (5/30 oczu, 17%), Or 2018 (5/30 oczu, 17%), Meyer 2021 (4/35 oczu, 11%), Bhattacharyya 2019 (39/39 oczu, 100%) oraz Hersh 2017 (58/102 oczu, 57%).

Bakteryjne zapalenie rogówki zaobserwowano w badaniu Meyer 2021 (1/35 oczu, 3%) w pierwszym tygodniu po zabiegu oraz w badaniach Bhattacharyya 2019 (1/39 oczu, 3%) i Hersh 2017 (2/293 oczu, 1%) bez odniesienia się do punktu czasowego.

#### Ograniczenia

Jakość przeglądu systematycznego Kobashi 2017 oceniono przy użyciu AMSTAR2 jako „krytycznie niską” ze względu na obecność dwóch uchybień w domenach krytycznych – brak załączonej do publikacji listy wykluczonych badań wraz z podaniem przyczyny wykluczenia oraz brak wykorzystania oceny ryzyka wystąpienia błędu systematycznego (RoB) i nieuwzględnienia go podczas interpretacji wyników. Warto przy tym wspomnieć, że przegląd Kobashi 2017 został opublikowany wcześniej niż narzędzie AMSTAR2, stąd kryteria oceny nie były dostępne na czas przygotowania manuskryptu przeglądu.

W odnalezionych publikacjach stosowano różnorodne sposoby oceny skorygowanej ostrości wzroku. Na podstawie dostępnych informacji nie było możliwe precyzyjne określenie w jaki sposób uzyskiwano najlepszą korekcję, np. z użyciem okularów, za pomocą soczewek kontaktowych. Nie w każdej z publikacji wskazywano, czy korekta dotyczy bliży czy dali.

Pozostałe ograniczenia zostały opisane w dokumencie „Raport w sprawie oceny świadczenia opieki zdrowotnej” (WS.420.6.2022) z 8 września 2022 r.

#### Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka

Nie dotyczy.

#### Ocena ekonomiczna, w tym szacunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

*Ocena ekonomiczna polega na oszacowaniu i zestawieniu kosztów i efektów zdrowotnych, jakie mogą wiązać się z zastosowaniem u pojedynczego pacjenta nowej terapii zamiast terapii już refundowanych.*

*Koszty terapii szacowane są w walucie naszego kraju, a efekty zdrowotne wyrażone są najczęściej w zyskanych latach życia (LYG, life years gained) lub w latach życia przeżytych w pełnym zdrowiu (QALY, quality adjusted life years) wskutek zastosowania terapii.*

*Zestawienie wartości dotyczących kosztów i efektów związanych z zastosowaniem nowej terapii i porównanie ich do kosztów i efektów terapii już refundowanych pozwala na uzyskanie odpowiedzi na pytanie, czy efekt zdrowotny uzyskany u pojedynczego pacjenta dzięki nowej terapii wiąże się z wyższym kosztem w porównaniu do terapii już refundowanych.*

*Uzyskane wyniki wskaźnika kosztów-efektów zdrowotnych porównuje się z tzw. progiem opłacalności, czyli wynikiem, który sygnalizuje, że przy zasobności naszego kraju (wyrażonej w PKB) maksymalny koszt nowej terapii, która ma wiązać się z uzyskaniem jednostkowego efektu zdrowotnego (1 LYG lub 1 QALY) w porównaniu do terapii już dostępnych, nie powinien przekraczać trzykrotności PKB per capita.*

*Aktualnie próg opłacalności wynosi 166 758 zł (3 × 55 586 zł).*

*Wskaźnik kosztów-efektów zdrowotnych nie szacuje i nie wyznacza wartości życia, pozwala jedynie ocenić i m. in. na tej podstawie dokonać wyboru terapii związanej z potencjalnie najlepszym wykorzystaniem aktualnie dostępnych zasobów.*

W celu odnalezienia analiz ekonomicznych dotyczących stosowania sieciowania włókien kolagenowych metodą cross-linking (CXL) u pacjentów ze stożkiem rogówki przeszukano bazy literatury medycznej. Odnaleziono cztery analizy ekonomiczne (Lindstrom 2021, Leung 2017, Godefraoij 2017, Salmon 2015) oraz dwa raporty HTA (FOPH 2021 – Szwajcaria, HTW 2021 – Walia).

Odnalezione raporty HTA oraz analizy ekonomiczne wskazują na opłacalność leczenia stożka rogówki z zastosowaniem sieciowania włókien kolagenowych metodą cross-linking (CXL) u dorosłych i dzieci,

w porównaniu z konwencjonalnym leczeniem. Analizy ekonomiczne wskazują na większą opłacalność terapii z zastosowaniem CXL w przypadku utrzymywania się trwałych korzyści klinicznych przez okres 14 lat. Raport FOPH 2021 dla porównania CXL vs brak leczenia przedstawił oszacowanie ICER w wysokości 115 481 PLN/QALY. Z kolei wartość ICER w HTW 2021 dla CXL vs standardowe leczenie oszacowano na 134 279 PLN/QALY. Oba oszacowania znajdują się poniżej progu opłacalności w Polsce.

W analizach ekonomicznych dla odniesienia CXL względem braku leczenia lub standardowego leczenia oszacowania ICER wyniosły 17 086 PLN/QALY (Salmon 2015), 19 813 PLN/QALY (Lindstrom 2021), 30 848 PLN/QALY (Leung 2017) oraz 249 492 PLN/QALY (Godefrooij 2017).

Należy podkreślić, że analizy ekonomiczne zostały opracowane z uwzględnieniem warunków innych niż polskie i płynące z nich wnioski mogą nie przełożyć się w pełni na warunki w Polsce.

**Wskazanie czy zachodzą okoliczności, o których mowa w art. 13 ust. 3 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2022 r. poz. 463, z późn. zm.);**

*Jeżeli analiza kliniczna wnioskodawcy nie zawiera randomizowanych badań klinicznych dowodzących wyższości leku nad technologiami medycznymi dotychczas refundowanymi w danym wskazaniu, to urzędowa cena zbytu leku musi być skalkulowana w taki sposób, aby koszt stosowania leku wnioskowanego do objęcia refundacją nie był wyższy niż koszt technologii medycznej o najkorzystniejszym współczynniku uzyskiwanych efektów zdrowotnych do kosztów ich uzyskania.*

Nie dotyczy.

**Ocena wpływu na system ochrony zdrowia, w tym wpływu na budżet płatnika publicznego**

*Ocena wpływu na system ochrony zdrowia składa się z dwóch istotnych części.*

*Po pierwsze, w analizie wpływu na budżet płatnika, pozwala na oszacowanie potencjalnych wydatków związanych z finansowaniem nowej terapii ze środków publicznych.*

*Szacunki dotyczące wydatków związanych z nową terapią (scenariusz „jutro”) są porównywane z tym, ile aktualnie wydajemy na leczenie danego problemu zdrowotnego (scenariusz „dziś”). Na tej podstawie możliwa jest ocena, czy nowa terapia będzie wiązać się z koniecznością przeznaczenia wyższych środków na leczenie danego problemu zdrowotnego, czy też wiąże się z uzyskaniem oszczędności w budżecie płatnika.*

*Ocena wpływu na budżet pozwala na stwierdzenie czy płatnik posiada odpowiednie zasoby na finansowanie danej technologii.*

*Ocena wpływu na system ochrony zdrowia w drugiej części odpowiada na pytanie jak decyzja o finansowaniu nowej terapii może wpłynąć na organizację udzielania świadczeń (szczególnie w kontekście dostosowania do wymogów realizacji nowej terapii) oraz na dostępność innych świadczeń opieki zdrowotnej.*

Obecnie w istniejących wykazach świadczeń gwarantowanych z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej i leczenia szpitalnego brak jest świadczenia „Operacja stożka rogówki metodą cross-linking”.

Liczebność populacji docelowej w Polsce oszacowano w KŚOZ na 20 000 osób. Zabiegi chirurgiczne wymagane są u od 10% do 26% chorych (KA 2022). Przy uwzględnieniu pacjentów do 40 roku życia, liczba osób kwalifikująca się do CXL może wynosić 300-500 osób rocznie. Eksperti kliniczni wskazują w opiniach, że stożek rogówki zwykle rozwija się równolegle w obu gałkach ocznych. W efekcie każdy pacjent wymagać będzie przeprowadzenia dwóch zabiegów. Jednoczesowe wykonanie CXL w obu oczach pacjenta nie jest zalecane.

Koszt CXL w KŚOZ wskazano na 2 500 PLN. Koszt wykonania zabiegu w sektorze prywatnym mieści się w przedziale od 2 000 PLN do 3 000 PLN.

Przy koszcie zabiegu dla jednego oka na poziomie 2 500 PLN oraz wykonaniu procedury na obu oczach pacjenta, koszt roczny dla płatnika publicznego mieści się w zakresie od 0,940 mln PLN przy 188 pacjentach (dane NFZ) do 2,500 mln przy 500 pacjentach (dane KŚOZ).

#### *Ograniczenia*

Oszacowanie liczby pacjentów kwalifikujących się do CXL oparte jest na dotychczasowych danych o finansowaniu ze środków publicznych świadczeń powiązanych z problemem zdrowotnym. CXL jest obecnie dostępne komercyjnie, jednak dane o liczbie wykonywanych zabiegów są niedostępne. W efekcie zakwalifikowania świadczenia jako świadczenia gwarantowanego liczba pacjentów może przekroczyć oszacowania scenariusza maksymalnego analizy.

Na potrzeby opracowania modelu przyjęto równe koszty CXL w populacji osób dorosłych i populacji pediatrycznej. Należy jednak wskazać, że z uwagi m.in. na konieczność dostosowania rodzaju znieczulenia do wieku pacjenta, niezbędna będzie wycena świadczeń niezależnie dla każdej ze wskazanych populacji.

Pozostałe ograniczenia zostały opisane w dokumencie „Raport w sprawie oceny świadczenia opieki zdrowotnej” (WS.420.6.2022) z 8 września 2022 r.

#### *Stanowisko NFZ w sprawie skutków finansowych dla systemu ochrony zdrowia*

Na podstawie dostępnych danych sprawozdawczo-rozliczeniowych z lat 2019–2021 Prezes NFZ przekazał następujące informacje dotyczące pacjentów ze stożkiem rogówki w kontekście: przeszczepiania rogówek oraz innych świadczeń zabiegowych z sekcji B Choroby Narządu Wzroku (leczenie szpitalne); liczby pacjentów korzystających z zaopatrzenia w soczewki kompaktowe twarde (P.075) (wykaz wyrobów medycznych wydawanych na zlecenie); liczby pacjentów z rozpoznaniem zasadniczym ICD-10 H18.6 Stożek rogówki w wieku do 40 lat, którzy uzyskali świadczenia w poradni okulistycznej/poradni okulistycznej dla dzieci i mogą być kwalifikowani do przedmiotowego świadczenia. Liczba pacjentów wyniosła 160 osób w 2019 roku, 127 osób w 2020 roku i 128 osób w 2021 roku.

W oszacowaniu skutku finansowego założono koszt nowego świadczenia w wysokości zgodnej z wartością podaną w KŚOZ, tj. 2 500 PLN; obuoczne występowanie stożka rogówki; szacunkową liczbę pacjentów na poziomie około 130-300, gdzie wartość minimalna została przyjęta na podstawie danych z roku 2021, zaś maksymalna na podstawie KŚOZ.

Prezes NFZ wskazał, iż szacunkowa ocena skutków finansowych w perspektywie 1 roku wyniesie od 650 tys. zł do 1,5 mln zł

#### **Uwagi do proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka**

Nie dotyczy.

#### **Uwagi do opisu świadczenia**

Brak uwag.

#### **Omówienie rozwiązań proponowanych w analizie racjonalizacyjnej**

*Przedmiotem analizy racjonalizacyjnej jest identyfikacja mechanizmu, którego wprowadzenie spowoduje uwolnienie środków publicznych w wysokości odpowiadającej co najmniej wzrostowi kosztów wynikającemu z podjęcia pozytywnej decyzji o refundacji wnioskowanej technologii medycznej.*

*Analiza racjonalizacyjna jest przedkładana, jeżeli analiza wpływu na budżet podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych wykazuje wzrost kosztów refundacji.*

Nie dotyczy.

## **Omówienie rekomendacji wydawanych w odniesieniu do ocenianej technologii**

### *Rekomendacje kliniczne*

Do analizy włączono dwie rekomendacje kliniczne – francuskie KNRC/SensGENE 2021 oraz amerykańskie AAO 2018. Wykonanie CXL zalecane jest w stwierdzonym progresywnym stożku rogówki u osób dorosłych i w stożku rogówki o wysokim ryzyku progresji u dzieci i młodzieży. Jako cel podaje się zatrzymanie lub spowolnienie postępu ektazji rogówki. Wytyczne amerykańskie wskazują, że Amerykańska Agencja ds. Żywości i Leków (FDA) zatwierdziła procedurę dla pacjentów w wieku od 14 do 65 roku życia. Jako przeciwwskazanie do CXL wymieniana jest grubość zrębu rogówki poniżej 400 µm oraz historia opryszczki rogówki.

### *Rekomendacje refundacyjne*

Odnaleziono dwie pozytywne decyzje refundacyjne z Niemiec (GBA) i Francji (HAS), które rekomendują stosowanie metody CXL u pacjentów ze stożkiem rogówki. Decyzja francuska wskazuje, iż zabieg powinien odbywać się w warunkach szpitalnych, na sali operacyjnej.

### *Rozwiązania w innych krajach*

CXL jest finansowane całkowicie lub częściowo ze środków publicznych w krajach takich jak: Australia, Chorwacja, Estonia, Francja i Niemcy. W Australii i Niemczech dotyczy stożka rogówki ze stwierdzoną progresją. We Francji finansowanie obejmuje również chorych z ektazją wtórną do chirurgii refrakcyjnej oraz populację pediatryczną bez potwierdzonej progresji. Dla Estonii i Chorwacji nie odnaleziono szczegółowych kryteriów kwalifikacji do finansowania CXL ze środków publicznych.

Wiek pacjenta został uwzględniony w kryteriach kwalifikacji w Chorwacji, gdzie finansowanie ze środków publicznych przysługuje do 45 roku życia. W pozostałych krajach nie odnaleziono informacji o granicy wiekowej pacjentów.

## **Podstawa przygotowania rekomendacji**

Rekomendacja została przygotowana na podstawie zlecenia z 26 lipca 2022 r. Ministra Zdrowia (znak pisma DLG.7000.49.2021) w sprawie zasadności kwalifikacji świadczenia opieki zdrowotnej „Operacja stożka rogówki metodą cross-linking” jako świadczenia gwarantowanego z zakresu leczenia szpitalnego, na podstawie art. 31 c ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2021 r. poz. 1285, z późn. zm.), po uzyskaniu stanowiska Rady Przejrzystości nr 85/2022 z dnia 12 września 2022 roku w sprawie zasadności kwalifikacji świadczenia opieki zdrowotnej „Operacja stożka rogówki metodą cross-linking” jako świadczenia gwarantowanego.



#### **Piśmiennictwo**

1. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 85/2022 z dnia 12 września 2022 roku w sprawie zasadności kwalifikacji świadczenia opieki zdrowotnej „Operacja stożka rogówki metodą cross-linking” jako świadczenia gwarantowanego.
2. Raport w sprawie oceny świadczenia opieki zdrowotnej nr WS.420.6.2022 pn. „Operacja stożka rogówki metodą cross-linking – ocena zasadności kwalifikacji świadczenia opieki zdrowotnej do wykazu świadczeń gwarantowanych z zakresu leczenia szpitalnego” z 8 września 2022 r.