



**Opinia Prezesa**  
**Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji**  
**nr 124/2016 z dnia 20 lipca 2016 r.**  
**o projekcie programu polityki zdrowotnej pn. „Program**  
**wielospecjalistycznej terapii osób z wrodzonymi wadami twarzy”**  
**realizowany przez województwo wielkopolskie**

Po zapoznaniu się z opinią Rady Przejrzystości pozytywnie opiniuję projekt programu polityki zdrowotnej „Program wielospecjalistycznej terapii osób z wrodzonymi wadami twarzy” realizowany przez województwo wielkopolskie pod warunkiem uwzględnienia poniższych uwag.

**Uzasadnienie**

Przedstawiony projekt programu polityki zdrowotnej dotyczy wielodyscyplinarnej terapii osób z wrodzonymi wadami twarzy, co stanowi ważny problem zdrowotny zarówno z medycznego jak i społecznego punktu widzenia.

Należy mieć na uwadze, że główną wartością dodaną do zaproponowanego programu jest stworzenie kompleksowej i skoordynowanej opieki nad uczestnikiem programu, co może pozwolić na uzyskanie pożądanego efektu terapeutycznego. Ponadto projekt zakłada działania edukacyjne, które mogą podnieść jakość programu. Należy jednak pamiętać, aby zostały one odpowiednio przygotowane, tak aby możliwe było uzyskanie pożądanego efektu.

Podkreślenia wymaga fakt, że projekt programu wymaga poprawy i doprecyzowania przede wszystkim w zakresie określenia kryteriów kwalifikacji uczestników do programu w oparciu o dostępne dowody naukowe. Istotne jest także określenie sposobu wyboru koordynatora programu oraz jego kompetencji i obowiązków.

Ponadto dużym ograniczeniem projektu jest zaproponowany budżet, który nie przedstawia szczegółowego kosztu poszczególnych jego składowych. Należy kosztorys przedstawić, na możliwie jak najwyższym stopniu szczegółowości, tak aby zaplanowane wydatki nie budziły wątpliwości oraz stanowiły wartości nie wykraczające poza obecne wyceny procedur medycznych.

Ważne jest także wskazanie kto będzie właścicielem i dysponentem zakupionego z programu sprzętu i kto będzie z niego korzystał po zakończeniu okresu 3-letniej realizacji projektu.

W odniesieniu do pozostałych elementów programu należy zwrócić uwagę na poprawne określenie celów programowych i odpowiadających im miernikom efektywności oraz odpowiednio zaplanować monitorowanie i ewaluację programu. Należy także uporządkować opis działań organizacyjnych oraz określić sposób wyboru realizatora.

Istotne jest także zaplanowanie możliwości kontynuacji programu. Trzyletni okres realizacji programu może okazać się zbyt krótki na realizację założonego celu, ze względu na wieloetapowe postępowanie diagnostyczne i lecznicze we wrodzonych wadach twarzy. Z tego powodu projekt programu powinien określać sposób postępowania z uczestnikami po zakończeniu realizacji projektu. Również biorąc pod uwagę omawiany problem i sytuację pacjentów ważne jest zaplanowanie



możliwości kontynuowania programu lub też zapewnienie uczestnikom odpowiedniej opieki po jego zakończeniu.

### **Przedmiot opinii**

Projekt programu polityki zdrowotnej dotyczy terapii osób z wrodzonymi wadami twarzy. Budżet programu został określony na 6 500 000 zł, zaś okres realizacji został zaplanowany na trzy lata.

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 dotyczy terapii wad wrodzonych twarzy (m.in. rozszczepu wargi i/lub podniebienia, wady towarzyszące zespołom: Downa, Edwardsa, Patau, Turnera). W projekcie problem zdrowotny został przedstawiony w sposób niepełny i wymagający uaktualnienia.

Odniesiono się także do danych epidemiologicznych dotyczących Polski, jednak także te dane wymagają aktualizacji.

Zgodnie z danymi Polskiego Rejestru Wrodzonych Wad Rozwojowych, częstość występowania rozszczepu wargi i/lub podniebienia w 2006 r. wynosiła 14,9 na 10 tys. żywych urodzeń. W 2006 r. urodziło się 460 dzieci z takimi wadami. Natomiast częstość występowania rozszczepu wargi i/lub podniebienia w samym województwie wielkopolskim w 2006 r. wynosiła 13,7 na 10 000 urodzeń.

#### Cele i efekty programu

Celem głównym programu jest poprawa jakości życia pacjentów z dysmorfiami twarzy. Dodatkowo wskazano 4 cele szczegółowe. Należy zwrócić uwagę, że cel główny został określony w sposób ogólny w związku z czym utrudniona może być jego realizacja. Określając cele należy zwrócić uwagę, by były one zgodne z zasadą SMART, według której cel powinien być m. in. szczegółowy, mierzalny, osiągalny, istotny i terminowy.

Oczekiwane efekty są adekwatne do postawionych w projekcie założeń.

Mierniki efektywności zostały nieprawidłowo określone i wymagają doprecyzowania. Zgodnie z definicją, są to wskaźniki, które umożliwiają obiektywną i precyzyjną ocenę stopnia realizacji celów. Powinny być więc istotnym odzwierciedleniem zdarzeń lub faktów występujących w danym programie oraz powinny zostać określone w odpowiednich jednostkach miary. Poza oceną stopnia realizacji celów mierniki efektywności pozwalają na oszacowanie ryzyka niepowodzenia programu oraz umożliwiają podjęcie działań korygujących, dlatego też prawidłowe określenie ww. wskaźników jest bardzo istotne. Zasadnym więc byłoby odniesienie się w projekcie do stopnia ograniczenia zmian morfologicznych, czynnościowych, deficytów poznawczych czy wzmocnienia kompetencji społecznych. W kwestii oceny poprawy jakości życia populacji docelowej, warto np. ustosunkować się do analizy wyników wcześniej przygotowanej ankiety subiektywnych odczuć pacjenta (satysfakcji uczestnika/jego opiekunów z usług w ramach programu). Należy pamiętać, aby mierniki dotyczyły wyników, nie zaś podjętych wysiłków, były obserwowalne i obiektywne, zaś dane do pomiaru były łatwo dostępne.

#### Populacja docelowa

Populację docelową programu stanowią osoby do 18 roku życia z wadami czynnościowo-morfologicznymi twarzy, które w sposób ograniczony korzystały ze specjalistycznej opieki zdrowotnej lub były jej całkowicie pozbawione.

Zaplanowano uczestnictwo ok. 300 osób w całym okresie realizacji programu. Zgodnie z opinią eksperta klinicznego, populacja docelowa została określona zbyt ogólnie, co może wpływać na

powielanie świadczeń gwarantowanych w populacji chorych objętych ogólnopolskim programem zdrowotnym.

Należy zaznaczyć, że w ramach kwalifikacji do programu przewiduje się badanie lekarskie oraz ankietę, jednak nie odniesiono się do szczegółów wspomnianego działania. W treści projektu sugeruje się włączenie do programu osób całkowicie pozbawionych opieki specjalistycznej czy też korzystających z niej w ograniczony sposób. Nie jest jasne na jakich zasadach ww. kryterium kwalifikacji do programu będzie egzekwowane. Ponadto kolejnym kryterium kwalifikacji do udziału w programie jest rozpoznanie przynajmniej jednej z dysmorfii twarzy (asymetria twarzy ze zgryzem krzyżowym, rozszczep podniebienia, wady dotylne z zaburzeniami harmonii twarzy, wady doprzednie z zaburzeniami harmonii twarzy, wrodzony brak zawiązków zębów stałych). Warto zaznaczyć, że podobne kryteria kwalifikacji uwzględnione są w ogólnopolskim programie zdrowotnym NFZ.

W projekcie nie oszacowano liczebności populacji pośredniej, czyli rodziców/opiekunów prawnych objętych działaniami edukacyjnymi.

### Interwencja

W ramach ocenianego projektu zaplanowano: utworzenie wielodyscyplinarnego zespołu specjalistycznego (3 ortodontów, chirurg szczękowo-twarzowy, chirurg plastyczny, psycholog, psychiatra, logopeda, fizjoterapeuta), opracowanie kompleksowej opieki medycznej nad pacjentami z wadami szczękowo-twarzowymi, wielodyscyplinarną diagnostykę zaburzeń morfologiczno-czynnościowych, zakup stosownego sprzętu diagnostycznego, specjalistyczne zabiegi lecznicze celem przywrócenia sprawności morfologiczno-czynnościowej (rehabilitacja mowy, rehabilitacja układu kostno-mięśniowo-stawowego, opieka psychologiczna, poradnictwo genetyczne/badania molekularne), edukację zdrowotną pacjentów i/lub ich opiekunów prawnych oraz indywidualną/grupową terapię psychologiczną celem budowy/wzmacniania kompetencji społecznych potencjalnych uczestników programu.

Zaplanowane w projekcie interwencje pozostają zgodne z wytycznymi i rekomendacjami, które wskazują na zasadność tworzenia wielodyscyplinarnych zespołów diagnostyczno-terapeutycznych oraz opieki kompleksowa nad pacjentem. Ponadto w zakresie edukacji zdrowotnej program również wpisuje się w rekomendacje.

Warto wskazać, że opis działań organizacyjnych w programie został skonstruowany w sposób chaotyczny. Należy dokładnie określić zakres wykonywanych usług, jeżeli są to usługi cykliczne to także ich częstość oraz czas trwania. Nie wskazano również sposobu prowadzenia edukacji zdrowotnej uczestników, co należy uzupełnić.

Należy jednak zwrócić uwagę, że zaplanowane w ocenianym projekcie interwencje, w dużej mierze pokrywają się z świadczeniami gwarantowanymi w ramach programu zdrowotnego finansowanego ze środków publicznych pn. „Ortodontyczna opieka nad dziećmi z wrodzonymi wadami części twarzowej czaszki” w grupie wiekowej do 18 r.ż. oraz świadczeniami zdrowotnymi zagwarantowanymi w ramach ambulatoryjnej opieki specjalistycznej (np. konsultacje psychologiczne/ psychiatryczne, chirurgii szczękowo-twarzowej) oraz leczenia szpitalnego (np. chirurgia szczękowo-twarzowa). Należy jednak stwierdzić, że zgodnie z danymi NFZ utrudnione jest określenie czy obecnie realizowany program zapewnia kompleksową opiekę nad pacjentem, czy też świadczone są jedynie pojedyncze usługi zgodnie z zapotrzebowaniem pacjentów i możliwościami danej jednostki.

### Monitorowanie i ewaluacja

W projekcie zaplanowano jego monitorowanie i ewaluację, jednak element ten nie został przygotowany w pełni prawidłowo.

W ramach monitorowania określono poprawnie ocenę zgłaszalności do programu. Ocena jakości udzielanych świadczeń nie została dostatecznie opisana, co wymaga uzupełnienia.

Ewaluacja (ocena efektywności) stanowi ocenę wpływu działań na zdrowie populacji w perspektywie wieloletniej. W tym celu należy określić wskaźniki, które umożliwią sprawdzenie w dłuższym okresie

czasu od zakończenia programu zmiany m.in. poprawa jakości życia pacjentów, odsetek pacjentów u których terapia zakończyła się powodzeniem.

Ponadto należy zaplanować utrzymanie trwałości osiągniętych efektów zdrowotnych. Element ten bazuje na odpowiedniej organizacji programu oraz przygotowaniu merytorycznym, co pozwala na utrzymanie osiągniętych efektów w czasie. W ocenianym projekcie istotne będzie utrzymanie osiągniętej poprawy jakości życia u pacjentów oraz sukcesywne zmniejszanie liczby dzieci z wadami twarzoczaszki.

#### Warunki realizacji

Projekt programu nie zawiera sposobu wyboru realizatora, co należy uzupełnić. Wskazano jednak kompetencje jakie powinien on posiadać.

W ramach zakończenia udziału w programie, przewiduje się przekazanie stosownych informacji na temat przebiegu i wyników leczenia pacjenta lekarzom POZ.

W projekcie oszacowano jego koszty całkowite (6,5 mln zł) oraz koszty pośrednie (związane z organizacją i zarządzaniem programem) i bezpośrednie (tj. diagnostyka, terapia, promocja zdrowia). Należy zaznaczyć, że planowanie budżetu powinno odbywać się w oparciu o model populacyjny (opierający się na kosztach jednostkowych, które następnie mnożone są przez liczebność populacji docelowej), ale dopuszcza się oszacowania w oparciu o koszty jednostkowe poszczególnych świadczeń. W projekcie nie wskazano kosztu realizacji programu przypadającego na jednego uczestnika, nie wyszczególniono także kosztów pojedynczych usług zdrowotnych, zakupu konkretnego sprzętu medycznego, czy wydatków przypadających na wynagrodzenie ściśle określonego specjalisty. Nie można zatem ocenić, czy zaplanowany budżet programu będzie wystarczający do zrealizowania celu głównego. Zgodnie z treścią projektu, koszty pośrednie będą stanowić ok. 9% kosztów całkowitych programu, natomiast pozostała kwota, tj. blisko 5,9 mln zł, zostanie przeznaczona na wynagrodzenia dla realizatorów, koszty materiałów do badań i leczenia, zakup sprzętu (nie określono dokładnie jakiego), koszty eksploatacji sal zabiegowych i szkoleniowych oraz opracowanie i druk materiałów edukacyjnych.

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

#### Problem zdrowotny

Wrodzone wady twarzoczaszki są grupą wad spowodowanych nieprawidłowym wzrostem i/lub rozwojem kości w obrębie twarzy/głowy. Większość z nich wpływa na wygląd twarzy, a nawet na zmiany w obrębie innych części ciała. Przebieg leczenia zależy od rodzaju problemu zdrowotnego. Do wad wrodzonych twarzoczaszki zaliczamy między innymi: rozszczep wargi, rozszczep podniebienia, deformacje szczęk, zniekształcone lub brakujące zęby, wady skostnienia kości twarzy/czaszki oraz asymetrię twarzy. Wady wrodzone twarzoczaszki są powodem licznych kontrowersji ze względu na złożoną etiologię oraz dużą liczbę koncepcji chirurgicznych dot. narzędzi w nich stosowanych, czy czasu i przebiegu określonych zabiegów (operacji).

Leczenie wad rozszczepowych twarzy charakteryzuje się wielospecjalistycznym, wieloetapowym oraz wieloletnim postępowaniem medycznym. Rozpoczyna się głównie w pierwszym roku życia i trwa zazwyczaj do ukończenia 20 r.ż. pacjenta. Wyleczenie wady lub zmniejszenie negatywnych skutków jej występowania jest możliwe poprzez zabiegi chirurgiczne oraz działania rehabilitacyjne. Rehabilitacja kompleksowa obejmuje działania z zakresu pediatrii, chirurgii, ortodontcji, audiologii, foniatryi, ale także wymaga pomocy psychiatrycznej i resocjalizacyjnej. Ważnym aspektem jest wczesne rozpoczęcie leczenia, aby ograniczyć potęgowanie się istniejących zniekształceń oraz powstrzymanie powstawania trudnych do odwrócenia nawyków.

#### Alternatywne świadczenia

Zgodnie z Rozporządzeniem Ministra Zdrowia z dnia 6 listopada 2013 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu programów zdrowotnych, w Polsce prowadzony jest program pn. „Ortodontyczna opieka nad dziećmi z wrodzonymi wadami części twarzowej czaszki”.

Zaznaczyć należy, że zaplanowane w ocenianym projekcie interwencje, w dużej mierze pokrywają się ze świadczeniami realizowanymi w przytoczonym powyżej programie oraz świadczeniami zdrowotnymi zagwarantowanymi w ramach ambulatoryjnej opieki specjalistycznej (np. konsultacje psychologiczne/psychiatryczne, chirurgii szczękowo-twarzowej) oraz leczenia szpitalnego (np. chirurgia szczękowo-twarzowa).

#### Ocena technologii medycznej

Odnalezione rekomendacje/wytyczne wskazują na zasadność tworzenia wielodyscyplinarnych zespołów terapeutycznych w postępowaniu diagnostyczno-leczniczym, we wrodzonych wadach twarzoczaszki wśród dzieci i młodzieży. American Cleft Palate – Craniofacial Association (ACPA 2009, 2016) sugeruje, że leczenie pacjentów z wadami twarzoczaszki powinno być prowadzone przez interdyscyplinarny zespół specjalistów, natomiast muszą to być osoby posiadające doświadczenie kliniczne w diagnostyce i leczeniu ww. wad. Jako najważniejszą podstawę ww. zespołu wskazuje się specjalistów w zakresie patologii mowy i języka, chirurgii oraz ortodontji. Istotne jest, żeby tego rodzaju zespoły specjalistów były koordynowane przez jednostkę do tego wybraną. Osoba koordynująca działania poszczególnego zespołu powinna kontrolować jego wydajność i skuteczność w zakresie postępowania diagnostyczno-terapeutycznego. Zespół powinien opracować w ramach cyklicznych spotkań indywidualny plan leczenia dla każdego z pacjentów, jak również monitorować zarówno krótko- jak i długoterminowe efekty leczenia i postępowania diagnostycznego u poszczególnych pacjentów. Rodzice/opiekunowie prawni powinni zostać odpowiednio poinformowani nt. rekomendowanych metod leczenia, opcji, czynników ryzyka, korzyści płynących z wdrożenia postępowania diagnostyczno-leczniczego oraz kosztów ww. działań. Informacje te mają na celu podjęcie świadomej decyzji skierowania na leczenie/dalsze postępowanie diagnostyczne dziecka i przygotowania potencjalnego pacjenta oraz jego najbliższych do często wieloetapowego i długiego postępowania medycznego.

Skomplikowane procedury diagnostyczne i leczenie chirurgiczne powinno być ograniczone do najważniejszych ośrodków medycznych wyposażonych w odpowiedni sprzęt i doświadczony personel medyczny. Mniej skomplikowane zabiegi mogą być wykonywane na szczeblu lokalnym, jednak skoordynowany zespół specjalistów powinien kontrolować dane działania.

ACPA zwraca szczególną uwagę na istotę konsultacji psychologicznych i wsparcia pracowników socjalnych. Podkreśla się zasadność objęcia opieką psychologiczną zarówno pacjentów z wadami rozszczepowymi twarzy oraz ich najbliższego otoczenia. Zaleca się tworzenie programów szkoleniowych, dzięki którym wzbogaca się bądź odbudowuje kompetencje społeczne wśród dzieci/młodzieży. Wskazuje się na zasadność prowadzenia szkoleń i programów edukacyjnych w zakresie postępowania z pacjentami z wadami rozszczepowymi i dysmorfiami twarzoczaszki.

Podobnie American Academy of Pediatric Dentistry (AAPD 2012) stwierdza, że leczenie pacjentów z anomaliami twarzoczaszki powinno być kierowane przez interdyscyplinarny zespół specjalistów. Wskazuje, że w skład tego typu zespołów powinni wchodzić różni specjaliści, począwszy od chirurgów, dentystów a skończywszy na innych dziedzinach medycyny i pokrewnych. Niezbędna jest funkcja koordynatora zespołu. W odróżnieniu do ACPA, AAPD dodaje, że zasadne jest tworzenie rejestrów diagnostycznych, gdzie dane będą zbierane systematycznie w odpowiednich odstępach czasu. W diagnostyce wad twarzoczaszki często wymienia się zastosowanie zdjęcia RTG stomatologicznego, obrazowanie kefalometryczne i inne metody diagnostyki obrazowej, co powinno być wykorzystywane podczas monitorowania i ewaluacji wyników ww. postępowania.

United Nations Population Fund (UNFPA 2007) w ogólnych wytycznych dot. wrodzonych wad rozwojowych u dzieci, podkreśla istotę tworzenia sieci wysoko specjalistycznych ośrodków (centrów referencyjnych) dysponujących najnowocześniejszymi metodami diagnostyki, leczenia i rehabilitacji dzieci z wadami rozwojowymi. Zaznacza też, że należy zapewnić stosowny dostęp do opieki genetycznej rodziny z dziećmi, u których zdiagnozowano wadę rozwojową. UNFPA sugeruje, że istotna jest edukacja zdrowotna, szczególnie w kierunku zróżnicowanej etiologii wad rozwojowych. Podobnie jak AAPD, sugeruje rozszerzenie obowiązku rejestrowania wad wrodzonych na cały kraj i tym samym wykorzystanie uzyskanych informacji w kierunku racjonalnego planowania środków na

wielospecjalistyczną opiekę medyczną dla dzieci z wadami wrodzonymi. Zasadne jest kontynuowanie i rozwijanie także współpracy międzynarodowej dot. monitorowania ww. wad wrodzonych.

**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: OT.441.108.2016 „Program wielospecjalistycznej terapii osób z wrodzonymi wadami twarzy” realizowany przez: Województwo wielkopolskie, Warszawa, lipiec 2016. oraz Opinii Rady Przejrzystości nr 194/2016 z dnia 11 lipca 2016 roku o projekcie programu „Program wielospecjalistycznej terapii osób z wrodzonymi wadami twarzy” województwa wielkopolskiego