



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości nr 333/2018 z dnia 20 grudnia 2018 roku w sprawie substancji czynnej budesonidum we wskazaniach pozarejestacyjnych

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji produktów leczniczych, zawierających substancję czynną budesonidum we wskazaniach innych niż ujęte w charakterystyce produktu leczniczego, tj.: postać jelitowa choroby przeszczep przeciwko gospodarzowi, mikroskopowe zapalenie jelit.

Uzasadnienie

W wyniku przeprowadzonego wyszukiwania nie odnaleziono żadnych nowych wytycznych klinicznych dotyczących przedmiotowego tematu, tj. zastosowania budesonidu w chorobie przeszczep przeciwko gospodarzowi (GVHD) oraz w mikroskopowym zapaleniu jelita grubego.

W trakcie przeszukiwania nie zidentyfikowano publikacji (bardziej aktualnych niż te zawarte w raporcie nr AOTMIT-BOR-434-18/2015) opisujących przeglądy systematyczne, badania kliniczne lub obserwacyjne, czy też serie lub opisy pojedynczych przypadków dotyczących ocenianej technologii medycznej. Nie zidentyfikowano też żadnych raportów HTA czy rekomendacji klinicznych na zadany temat.

Zgodnie z wynikami badań retrospektywnych i opiniami ekspertów wskazanymi w analizie nr AOTMIT-BOR-434-18/2015 oraz dostępnymi rekomendacjami, leczenie immunosupresyjne jelitowej postaci GVHD należy rozpoczynać od podania budesonidu. Nie udowodniono wprawdzie skuteczności leku w ostrej postaci jelitowej GVHD w jedynym prospektywnym RCT z placebo, ale badanie to przerwano z powodu zbyt powolnej rekrutacji kolejnych pacjentów (Schmelz 2014). Skuteczność leku w przewlekłej postaci GVHD opisano w serii przypadków. Obecnie w GVHD nie ma skutecznej alternatywy dla budesonidu, o udokumentowanej skuteczności klinicznej.

Ze względu na tryb wydawania niniejszej opinii, nie jest możliwe prawidłowe oszacowanie populacji chorych, wymagających stosowania ocenianej technologii, a tym samym jej kosztów z perspektywy płatnika publicznego.

Stosowanie budesonidu w mikroskopowym zapaleniu jelita jest obecnie postępowaniem z wyboru, a efektywność tej technologii jest potwierdzona



w randomizowanych badaniach klinicznych z grupą kontrolną, zarówno w odniesieniu do kolagenowego, jak i limfocytowego zapalenia jelit. Metaanalizy badań wykazały większą skuteczność budesonidu niż mesalazyny i prednizonu. Lek uznawany jest przez ekspertów za najskuteczniejszy w rozpatrywanym wskazaniu.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2016 r., poz. 1536 z późn. zm.)

Wykorzystane źródła danych:

1. Opracowanie na potrzeby oceny zasadności dalszego finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego, Aneks do raportu nr: OT.4321.34.2018 „Budesonidum we wskazaniach: postać jelitowa choroby przeszczep przeciwko gospodarzowi, mikroskopowe zapalenie jelit”. Data ukończenia: 12 grudnia 2018 r.