



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 238/2020 z dnia 21 września 2020 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną acidum ursodeoxycholicum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj. cholestaza ciężarnych

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną acidum ursodeoxycholicum, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj. cholestaza ciężarnych.

Uzasadnienie

Cholestaza ciężarnych stanowi odwracalną chorobę wątroby, ściśle powiązaną z ciążą. Objawy kliniczne cholestazy obejmują intensywny świąd skóry, bez towarzyszącej wysypki oraz nieprawidłowe wyniki badań czynności wątroby. Cholestaza ciążowa nie stanowi bezpośredniego zagrożenia dla życia matki, ale może wiązać się z podwyższonym ryzykiem dla płodu.

W przeglądzie systematycznym Cochrane Library analizowano efektywność kliniczną kwasu ursodeoksycholowego w leczeniu cholestazy ciężarnych. Na podstawie badań RCT, włączonych do metaanalizy, wykazano, że stosowanie kwasu ursodeoksycholowego, w porównaniu z placebo, prowadzi do zmniejszenia nasilenia świądu. Ocena częstości innych zaburzeń, w tym poronień i zdarzeń asfiksyjnych nie była możliwa, ze względu na zbyt małą liczbę zdarzeń. Profil działań niepożądanych kwasu ursodeoksycholowego jest akceptowalny. Najczęstsze działania niepożądane obejmują między innymi biegunki, bóle brzucha oraz pokrzywkę.

Zgodnie z opinią ekspertów klinicznych, w tym Konsultanta Krajowego w dziedzinie położnictwa i ginekologii, jedyną skuteczną technologią medyczną w niniejszym wskazaniu jest kwas ursodeoksycholowy, który jest aktualnie stosowany prawie u 100% pacjentek. Zdaniem ekspertów, lek znacząco zmniejsza nasilenie świądu, ogranicza ryzyko wystąpienia żółtaczk i powoduje normalizację parametrów biochemicznych, jak również wpływa na zmniejszenie ryzyka poronień i zgonów wewnątrzmacicznych.



Zgodnie z wytycznymi praktyki klinicznej (w tym Zespołu Ekspertów Polskiego Towarzystwa Ginekologicznego 2012, NHS 2019, Polskiego Towarzystwa Gastroenterologii (PTG-E 2018) oraz europejskich wytycznych EASL 2017), kwas ursodeoksycholowy jest lekiem pierwszego rzutu w ocenianym wskazaniu. Europejskie wytyczne zwracają uwagę na ograniczone dowody naukowe, dotyczące stosowania kwasu ursodeoksycholowego, jednak zalecają kontynuację leczenia z jego wykorzystaniem. W większości wytycznych u pacjentek z cholestazą zalecana jest także suplementacja witaminy K.

Zgodnie z opiniami ekspertów, populacja kobiet, u których kwas ursodeoksycholowy byłby stosowany, wynosi od około 50 do 1000 osób. Dzienny koszt terapii oszacowano na 1,69 PLN. W związku z tym, maksymalne roczne wydatki budżetowe mogą wynieść około 600 tys. PLN brutto.

Biorąc pod uwagę dostępne dane kliniczne, rekomendacje kliniczne i opinie ekspertów, które zalecają stosowanie kwasu ursodeoksycholowego jako terapii pierwszorzutowej w leczeniu cholestazy ciężarnych, a także fakt, że finansowanie technologii nie będzie się wiązało ze znacznymi obciążeniami budżetowymi, Rada uznaje finansowanie wnioskowanej technologii za zasadne.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 784 z późn. zm.), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2020 r., poz. 1398), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności objęcia refundacją leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr: OT.4320.23.2020 „Acidum ursodeoxycholicum we wskazaniu: cholestaza ciężarnych”.
Data ukończenia: 16 września 2020 r.