



Opinia Rady Przejrzystości

nr 30/2023 z dnia 6 marca 2023 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną peginterferon beta-1a wybranych wskazaniach pozarejestacyjnych: leczenie pacjentów w wieku od 12 lat w ramach programu lekowego B.29 „Leczenie chorych na stwardnienie rozsiane (ICD-10: G35)”

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną peginterferon beta-1a we wskazaniach innych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj. leczenie pacjentów w wieku od 12 lat w ramach programu lekowego B.29 „Leczenie chorych na stwardnienie rozsiane (ICD-10: G35)”.

Uzasadnienie

Peginterferon beta-1a był dwukrotnie przedmiotem oceny Agencji w powyższym wskazaniu. W 2017 r., jak również w 2020 r. otrzymał pozytywne opinie Rady.

W dniu 12 czerwca 2017 r. Rada Przejrzystości wydała pozytywną opinię w sprawie objęcia refundacją leków zawierających peginterferon beta-1a w leczeniu pacjentów ze stwardnieniem rozsianym w wieku od 12 lat. Jak podkreślono, wprowadzie nie określono bezpieczeństwa i skuteczności stosowania leków zawierających tę substancję czynną u dzieci od 12 roku życia, jednak niektóre towarzystwa neurologiczne dopuszczają możliwość leczenia dzieci z SM. Odnotowano brak randomizowanych badań klinicznych dotyczących stosowania ocenianej substancji w populacji pediatrycznej. Program lekowy B.29 „Leczenie stwardnienia rozsianego (ICD-10 G35)” od 1 września 2017 r. przewiduje leczenie peginterferonem beta-1a pacjentów w wieku od 12 roku życia (obecnie zmieniona nazwa na B.29 „Leczenie chorych na stwardnienie rozsiane (ICD-10: G35)”).

Z wytycznych ABN 2015 i PTN 2016 oraz NHS 2019 przedstawionych w poprzednich raportach (2017 i 2019) wynika, że leki stosowane w populacji dorosłych, w tym fumaran dimetylu, peginterferon beta-1a i teriflunomid, mogą być stosowane w populacji młodzieży w wieku 16-18 lat, a leczenie dzieci młodszych powinno odbywać się pod nadzorem neurologów dziecięcych posiadających doświadczenie w tym zakresie.

Przeprowadzona aktualizacja danych wykazała jeden dokument kanadyjskich wytycznych CMSWG 2020 odnoszących się do postępowania w stwardnieniu rozsianym u dzieci (ang. *Pediatric-Onset Multiple Sclerosis, POMS*). W wytycznych zaleca się wczesne rozpoczęcie leczenia POMS terapiami modyfikującymi przebieg choroby, które są zarejestrowane do stosowania w populacji dorosłych. Leczone dzieci i młodzież ze stwardnieniem rozsianym powinny być kompleksowo monitorowane.

Nie odnaleziono badań dot. skuteczności peginterferon beta-1a w populacji pacjentów ze stwardnieniem rozsianym w wieku 12-18 lat. W badaniu Skarlis 2022 dot. skuteczności i bezpieczeństwa DMT stosowanych w pierwszej linii leczenia u pacjentów z POMS, odniesiono się do bezpieczeństwa stosowania produktu leczniczego Plegridy u jednego pacjenta. Podczas 36 miesięcznej terapii produktem leczniczym Plegridy nie odnotowano zdarzeń niepożądanych.

Odnaleziono również informacje dotyczące 2 badań klinicznych prowadzonych w populacji pediatrycznej odnoszące się do skuteczności peginterferonu beta-1a, z których jedno badanie zostało przerwane (ze względu na trudności w rekrutacji), natomiast drugie nadal trwa, przewidywana data zakończenia to rok 2029.

Biorąc powyższe dane pod uwagę Rada Przejrzystości uznaje, że od czasu wydania poprzedniej opinii nie pojawiły się nowe dane uzasadniające zmianę pozytywnej opinii dotyczącej refundacji leków zawierających substancję czynną peginterferon beta-1a w leczeniu pacjentów w wieku od 12 lat w ramach programu lekowego B.29.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2022 r., poz. 2555 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 2022 r., poz. 2561 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania Opracowanie na potrzeby oceny zasadności dalszego finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr OT.422.1.7.2023, OT.422.1.7.2023 (Aneks do opracowania nr OT.4321.69.2019, OT.434.21.2017) „Fumaran dimetylu i peginterferon beta-1a we wskazaniu: leczenie pacjentów w wieku od 12 lat w ramach programu lekowego B.29 „Leczenie chorych na stwardnienie rozsiane (ICD-10: G35)” ; data ukończenia 1 marca 2023 r.