



Opinia Rady Przejrzystości
nr 109/2024 z dnia 15 lipca 2024 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną
filgrastym we wskazaniach: gorączka neutropeniczna (zakażenie
w przebiegu neutropenii), neutropenia wrodzona, neutropenia
nabyta

Rada Przejrzystości uznaje za zasadną kontynuację objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną filgrastym we wskazaniach: gorączka neutropeniczna (zakażenie w przebiegu neutropenii), neutropenia wrodzona, neutropenia nabyta.

Uzasadnienie

W roku 2021 Rada Przejrzystości wydała pozytywną opinię w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych leków zawierających substancję czynną filgrastimum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj. gorączka neutropeniczna, neutropenia wrodzona, neutropenia nabyta. (Opinia nr 118/2021 z dnia 16 sierpnia 2021 roku). Wcześniej pozytywne opinie Rady Przejrzystości były wydane w roku 2013, 2015 i 2018.

W ramach obecnej aktualizacji przeglądu systematycznego dowodów naukowych nie odnaleziono nowych badań opublikowanych po 30.07.2021 r. dla wskazań: gorączka neutropeniczna i neutropenia wrodzona w przypadkach innych niż określone w ChPL. W dwóch publikacjach (Bécharde 2021 oraz Rossi 2022) przedstawiono dodatkowe dowody dla wskazania neutropenia nabyta. W obu badaniach raportowano pozytywne skutki zastosowania leków z grupy G - CSF (czynnik stymulujący tworzenie kolonii granulocytów; ang. granulocyte colony-stimulating factor), do których należy filgrastym, u kilku pacjentów przy wystąpieniu neutropenii jako powikłania leczenia niezwiązanego ze wskazaniami opisanymi w ChPL – przy farmakoterapii klozapiną lub przeciwciałami monoklonalnymi anti-CD20. Lek był dobrze tolerowany.

Głównym ograniczeniem przeprowadzonej analizy klinicznej, podobnie jak w 2021 r., jest brak wysokiej jakości badań oceniających skuteczność i bezpieczeństwo filgrastymu w omawianych wskazaniach. Ponadto nie odnaleziono badań, które umożliwiłyby porównanie skuteczności

filgrastymu z inną możliwą do zastosowania w polskich warunkach technologią lekową lub jej brakiem.

Odnaleziono 4 nowe wytyczne praktyki klinicznej, w których odnoszono się do stosowania filgrastymu poza wskazaniami w ChPL. Wytyczne NCCN 2024 zalecają stosowanie filgrastymu w profilaktyce gorączki neutropeniczej występującej w wyniku stosowania chemioterapii. Hiszpański konsensus ekspertów SEIP SEHOP 2023 dotyczył leczenia gorączki neutropeniczej u pacjentów pediatrycznych z chorobami onkologicznymi i wskazywał na konieczność leczenia infekcji oraz profilaktyczne stosowanie G-CSF.

Konsensus ekspertów EHA EuNet-INNOCHRON 2023 zaleca kontynuację stosowania G-CSF u kobiet, u których stosowano takie leczenie przed zajściem w ciążę oraz rozważenie takiego leczenia u kobiet uprzednio nieleczonych. Ponadto w przypadku ciężkich infekcji u noworodka możliwe jest zastosowanie G-CSF. W konsensusie onkologów Adamo 2022 dotyczącym prewencji neutropenii indukowanej chemioterapią zaleca się ocenę ryzyka wystąpienia neutropenii/gorączki neutropeniczej w każdym cyklu chemioterapii oraz stosowanie G-CSF u pacjentów obarczonych wysokim ryzykiem.

Jedynie wytyczne CPS 2023, dotyczące nawracających zakażeń/neutropenii u dzieci z prawidłową odpornością, nie odnoszą się do stosowania G-CSF w takich przypadkach.

Główny argument decyzji:

W żadnej z rekomendacji lub publikacji nie wskazano na ryzyko terapii, które mogłyby zmienić wcześniejsze wnioskowanie odnośnie stosowania filgrastymu w przedmiotowych wskazaniach pozarejestacyjnych.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 930 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 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności dalszego finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr: OT.422.1.26.2024 (Aneks do opracowania nr: OT.4221.17.2021) „Filgrastym we wskazaniach: gorączka neutropeniczna (zakażenie w przebiegu neutropenii); neutropenia wrodzona; neutropenia nabyta”; data ukończenia: 10 lipca 2024 r.