



Opinia Rady Przejrzystości
nr 120/2024 z dnia 5 sierpnia 2024 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną
octreotidum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania,
lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce
Produktu Leczniczego, tj. hiperinsulinizm spowodowany inną
przyczyną niż określona w ChPL oraz objawy hipersekrekcji
występujące w przebiegu nowotworów neuroendokrynych innych
niż określone w ChPL

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną octreotidum we wskazaniach pozarejestacyjnych: hiperinsulinizm spowodowany inną przyczyną niż określona w ChPL oraz objawy hipersekrekcji występujące w przebiegu nowotworów neuroendokrynych innych niż określone w ChPL.

Uzasadnienie

W swojej poprzedniej opinii – nr 131/2021 z dnia 6 września 2021 roku – Rada Przejrzystości uznała za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną octreotidum w powyższych wskazaniach.

W obecnie odnalezionych wytycznych (NCCN 2024 oraz SEOM 2022) wskazuje się, że analogi somatostatyny (w tym oktreotydu) są zalecaną opcją terapeutyczną w leczeniu objawów guzów neuroendokrynych, szczególnie w przypadku występowania objawów hormonalnych, w przebiegu rakowiaka i zespołu rakowiaka oraz w przypadku innych zespołów czynnościowych. Zalecenia te są zgodne z przedstawionymi w poprzednich raportach.

Odnalezione wytyczne dotyczą także leczenia hiperinsulinizmu u pacjentów pediatrycznych. Wytyczne te zalecają stosowanie oktreotydu (Shaikh 2023) oraz ogólnie analogów somatostatyny (De Leon 2024) w ramach II linii terapii u pacjentów, którzy nie odpowiadają na leczenie diazoksydem.

Do obecnego przeglądu włączono trzy badania dotyczące zastosowania oktreotydu w leczeniu niemowląt i dzieci. W ambispektywnym badaniu kohortowym Sharma 2022 dobrą odpowiedź na oktreotydu podawany podskórnie raz na dobę zaobserwowano u 13 z 19 (68,4%) pacjentów z hiperinsulinizmem wrodzonym (CHI) nieodpowiadających na diazoksyd. Autorzy ocenili,

że postępowanie terapeutyczne u pacjentów z CHI jest skuteczne, jeśli zalecenia są przestrzegane, zapewniając dobrą jakość życia i wyniki neurologiczne. W retrospektywnym badaniu Bezirganoglu 2023 jedynie 2 (25%) niemowląt z hipoglikemią hiperinsulemiczną (HH) odpowiedziało na leczenie oktreotydem, a pacjentom nieodpowiadającym na ten lek podano syrolimus. Jednoramienne prospektywne badanie Kubsad 2024 wykazało z kolei skuteczność i bezpieczeństwo długo działającego oktreotydu w populacji niemowląt i dzieci z HH. Badana substancja skutecznie zmniejszyła liczbę epizodów hipoglikemii, nie powodując przy tym żadnych działań niepożądanych. Jakość życia oceniona przez rodziców wzrosła.

Przeгляд systematyczny z metaanalizą Ganiyu 2024 oceniał skuteczność terapii stosowanych w rakowiakowej chorobie serca. W grupie pacjentów stosujących oktreotydy odnotowano odpowiedź na leczenie u 66% pacjentów (spośród 132) w zakresie objawów ogólnych, 65% (spośród 422) w zakresie biegunki oraz u 72% (spośród 313) w zakresie uderzeń gorąca. Wyniki były porównywalne do wyników uzyskanych w grupie stosującej lanreotydy.

Przeгляд systematyczny z metaanalizą Alexandraki 2023 oceniał skuteczność długo działających analogów somatostatyny w kontrolowaniu biegunki i uderzeń gorąca w zespole rakowiaka. W grupie pacjentów stosujących oktreotydy łączny odsetek pacjentów z całkowitą lub częściową odpowiedzią wyniósł 0,75 (95% CI: 0,51–0,89) dla biegunki oraz 0,70 (95% CI: 0,46–0,87) dla uderzeń gorąca. Nie odnotowano istotnej statystycznej różnicy w zakresie skuteczności pomiędzy długo działającym oktreotydem i lanreotydem.

Wyniki odnalezionych badań w zakresie skuteczności oktreotydu w ocenianych wskazaniach, czyli hiperinsulinizm spowodowany inną przyczyną niż określona w ChPL oraz objawy hipersekcji występujące w przebiegu nowotworów neuroendokrynych innych niż określone w ChPL, są zbieżne z wynikami badań opisanych w poprzednim raporcie AOTMiT. Dowody te wskazują na skuteczność oktreotydu w zakresie kontroli glikemii w populacji pacjentów pediatrycznych z wrodzonym hiperinsulinizmem oraz na skuteczność w zakresie kontroli objawów związanych z hipersekcją w zespole rakowiaka. Publikacja Ganiyu 2024 wskazuje zaś na skuteczność oktreotydu w zakresie kontroli objawów w populacji uprzednio nieuwzględnionej – u pacjentów z rakowiakową chorobą serca.

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 objęcia refundacją leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr: OT.422.1.30.2024 (Aneks do opracowania nr: OT.4221.24.2021) „Lanreotyd we wskazaniu: hiperinsulinizm spowodowany inną przyczyną niż określona w ChPL Oktreotyd we wskazaniach: hiperinsulinizm spowodowany inną przyczyną niż określona w ChPL oraz objawy hipersekcji występujące w przebiegu nowotworów neuroendokrynnych innych niż określone w ChPL”. Data ukończenia: 2 sierpnia 2024 r.