



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

BP.401.16.2019.LA

**Protokół nr 14/2019**  
**z posiedzenia Rady Przejrzystości**  
**w dniu 8 kwietnia 2019 roku**  
**w siedzibie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (Agencji)**

Członkowie Rady Przejrzystości (Rada) obecni przy rozpoczęciu posiedzenia (wymagane kworum: 14 osób):

1. Anna Cieślik
2. Anna Gręziak
3. Barbara Jaworska-Łuczak
4. Dorota Kilańska
5. Michał Myśliwiec
6. Rafał Niżankowski – prowadził posiedzenie
7. Tomasz Pasierski
8. Tomasz Romańczyk
9. Rafał Suwiński
10. Piotr Szymański
11. Janusz Szyndler
12. Andrzej Śliwczyński
13. Dariusz Tereszowski-Kamiński
14. Artur Zaczyński

Członkowie Rady nieobecni na posiedzeniu:

1. Adam Maciejczyk
2. Dariusz Struski
3. Anetta Undas

Proponowany porządek obrad:

1. Otwarcie posiedzenia, omówienie i zatwierdzenie porządku obrad, omówienie konfliktów interesów członków Rady.
2. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku ALECENSA (alektynib) we wskazaniu: gruczolak płuca ALKI+ (ICD10: C 34.8).
3. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku MABTHERA (rituximab) we wskazaniu: twardzina układowa (ICD10: M34).



4. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku NEXAVAR (sorafenib) we wskazaniu: rak pęcherzykowy tarczycy (ICD10: C73).
5. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku XOLAIR (omalizumab) we wskazaniu: astma oskrzelowa alergiczna (ICD10: J45.0) IgE-zależna w populacji pacjentów poniżej 12 roku życia.
6. Dyskusja nad wpływem proponowanych zmian organizacyjnych w obszarze rehabilitacji leczniczej na zakres i sposób oceny technologii medycznych stosowanych w tym obszarze.
7. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności zmiany technologii medycznej w zakresie rehabilitacji kardiologicznej.
8. Sprawy organizacyjne.
9. Omówienie zmian w regulaminie pracy Rad Przejrzystości.
10. Zakończenie posiedzenia.

**Ad 1.** Posiedzenie rozpoczęło się o godzinie 10:03. Rada jednogłośnie (14 głosów za) zatwierdziła proponowany porządek obrad. Żaden z członków Rady nie zgłosił konfliktu interesów.

**Ad 2.** Rada przeprowadziła wstępną dyskusję dotyczącą leku ALECENSA (alektynib) we wskazaniu: gruczolak płuca ALKI+ (RDTL), w której udział wzięli: Tomasz Pasierski, Rafał Niżankowski, Michał Myśliwiec, Anna Gręziak, Andrzej Śliwczyński i Rafał Suwiński. Projekt pozytywnej opinii przedstawił Tomasz Pasierski.

Sformułowano treść opinii, w czym udział wzięli: Tomasz Pasierski, Rafał Niżankowski, Piotr Szymański i Michał Myśliwiec, po czym prowadzący zarządził głosowanie. Rada jednogłośnie (14 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 1 do protokołu).

**Ad 3.** Projekt opinii dotyczącej leku MABTHERA (rituximab) we wskazaniu: twardzina układowa (RDTL) przedstawił Janusz Szyndler. W dyskusji udział wzięli: Andrzej Śliwczyński, Rafał Niżankowski, Janusz Szyndler, Michał Myśliwiec i Tomasz Pasierski.

W trakcie przedstawiania projektu opinii na posiedzenie przybył Jakub Pawlikowski, który nie zadeklarował konfliktu interesów.

Sformułowano treść opinii, w czym udział wzięli: Rafał Niżankowski, Janusz Szyndler, Michał Myśliwiec, Piotr Szymański i Anna Gręziak, po czym prowadzący zarządził głosowanie. Rada jednogłośnie (15 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 2 do protokołu).

**Ad 4.** Analityk Agencji zaprezentował podsumowanie informacji dotyczących leku NEXAVAR (sorafenib) we wskazaniu: rak pęcherzykowy tarczycy (RDTL), po czym wywiązała się wstępna dyskusja Rady, w której udział wzięli: Andrzej Śliwczyński i Rafał Niżankowski, a propozycję opinii przedstawił Rafał Suwiński.

Sformułowano treść opinii, w czym udział wzięli: Rafał Niżankowski, Andrzej Śliwczyński, Michał Myśliwiec i Piotr Szymański, po czym prowadzący zarządził głosowanie. Rada jednogłośnie (15 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 3 do protokołu).

**Ad 5.** Projekt opinii dotyczącej leku XOLAIR (omalizumab) w astmie oskrzelowej alergicznej (RDTL) przedstawił Andrzej Śliwczyński. W dyskusji udział wzięli: Andrzej Śliwczyński, Rafał Niżankowski, Michał Myśliwiec i Anna Gręziak.

Sformułowano treść opinii, w czym uczestniczyli: Rafał Niżankowski, Anna Gręziak, Andrzej Śliwczyński i Tomasz Romańczyk. Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (15 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 4 do protokołu).

**Ad 6.** Dyrektor Wydziału Świadczeń Opieki Zdrowotnej Agencji zaprezentował podsumowanie informacji dotyczących wpływu proponowanych zmian organizacyjnych w obszarze rehabilitacji leczniczej na zakres i sposób oceny technologii medycznych stosowanych w tym obszarze. W trakcie prezentacji odbyła się dyskusja, w której udział wzięli: Rafał Niżankowski, Jakub Pawlikowski, Piotr Szymański, Andrzej Śliwczyński, Anna Gręziak, Tomasz Romańczyk, Michał Myśliwiec i Dorota Kilańska.

**Ad 7.** Rada przeprowadziła wstępną dyskusję dotyczącą zasadności zmiany technologii medycznej w zakresie rehabilitacji kardiologicznej, w której udział wzięli: Rafał Niżankowski, Jakub Pawlikowski, Andrzej Śliwczyński, Michał Myśliwiec, Dorota Kilańska, Anna Gręziak, Piotr Szymański, Tomasz Romańczyk, Artur Zaczyński i Tomasz Pasierski.

W trakcie dyskusji posiedzenie opuścił  
Dariusz Tereszkowski-Kamiński.

Projekt pozytywnego stanowiska przedstawił Rafał Niżankowski. W formułowaniu ostatecznej treści stanowiska udział wzięli: Rafał Niżankowski, Michał Myśliwiec, Anna Gręziak, Andrzej Śliwczyński, Jakub Pawlikowski i Dorota Kilańska, po czym prowadzący zarządził głosowanie. Rada 12 głosami za, przy 2 przeciw (14 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 5 do protokołu).

**Ad 8.** Rada omówiła kwestie związane z organizacją posiedzeń.

**Ad 9.** Przewodniczący Rady przedstawił stan realizacji zmian regulaminu pracy Rady i poinformował, że zostanie on poddany pod głosowanie na posiedzeniu w dniu 29 kwietnia 2019 r.

**Ad 10.** Posiedzenie zakończyło się o godzinie 14:57.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 87/2019 z dnia 8 kwietnia 2019 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych,  
w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku  
Alecensa (alektynib) we wskazaniu: gruczolak płuca ALKI+  
(ICD-10: C34.8)

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Alecensa (alektynib), tabletki á 150 mg, we wskazaniu: gruczolak płuca ALKI+ (ICD-10: C34.8).*

#### Uzasadnienie

##### Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

*Gruczolakorak płuca, będący niedrobnokomórkowym rakiem płuca, jest chorobą o bardzo złym rokowaniu. Mediana czasu przeżycia chorych z rozsiewem niedrobnokomórkowego raka płuca (stopień IV) nie przekracza roku.*

##### Skuteczność kliniczna i praktyczna

*Oceniona na podstawie przejściowej (interim) analizy badania randomizowanego ALUR jest w tym wskazaniu duża.*

##### Bezpieczeństwo stosowania

*Większe niż komparatora – klasycznej chemioterapii.*

##### Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

*Jeszcze niemożliwa do oceny, lecz wydaje się być duża.*

##### Konkurencyjność cenowa

*Nie dotyczy – brak zbliżonej technologii.*

##### Wpływ na wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorców

*Całkowity koszt terapii (3-miesięczna terapia) – ██████████ zł.*



Alternatywna technologia medyczna, w rozumieniu ustawy o świadczeniach, oraz jej efektywność kliniczna i bezpieczeństwo stosowania

Na tym etapie choroby alternatywę stanowi klasyczna chemioterapia, lecz jej skuteczność jest mała.

Główne argumenty decyzji

Wcześniejsza rekomendacja AOTMiT nr 94/2018 z dnia 12 października 2018 r., dotycząca wskazania szerszego niż wnioskowane, brzmiała: „Prezes Agencji rekomenduje objęcie refundacją produktu leczniczego Alecensa (alektynib), kapsułki twarde, 150 mg, 224 kaps., w ramach programu lekowego »Leczenie niedrobnokomórkowego raka płuca (ICD-10: C34)«, pod warunkiem pogłębienia instrumentu dzielenia ryzyka”.

Uwaga Rady

Istotnym problemem jest wysoki koszt terapii.

**Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt. 4 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2018 r., poz. 1510, z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, nr: OT.422.27.2019 „Alecensa (alektynib) we wskazaniu: gruczolakorak płuca ALK+ (ICD-10: C34.8)”. Data ukończenia: 03.04.2019.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Roche Polska Sp. z o. o., Novartis Poland Sp. z o.o.).

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem Roche Polska Sp. z o. o., Novartis Poland Sp. z o.o. o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

**Podstawa prawna wyłączenia jawności:** art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2018 r., poz.1330 z późn. zm.) w zw. z art. 11 ust. 2 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2018 r., poz. 419 z późn. zm.).

**Organ dokonujący wyłączenia jawności:** Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji.

**Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności:** Roche Polska Sp. z o. o., Novartis Poland Sp. z o.o.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 88/2019 z dnia 8 kwietnia 2019 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych,  
w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku  
MabThera (rytuksymab) we wskazaniu: twardzina układowa  
(ICD-10: M34)

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku MabThera (rytuksymab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji 10 mg/ml, we wskazaniu: twardzina układowa (ICD-10: M34). W przypadku dostępności alternatywnego preparatu rytuksymabu, Rada stoi na stanowisku, iż zastosowany powinien być najtańszy preparat. Warunkiem finansowania w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych jest udokumentowany brak skuteczności u chorego innych opcji terapeutycznych rekomendowanych w tym schorzeniu, w tym metotreksatu, mykofenolanu mofetylu i cyklofosfamidu.*

#### **Uzasadnienie**

##### Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

*Twardzina układowa jest przewlekłą chorobą układową tkanki łącznej, charakteryzującą się postępującym włóknieniem skóry i narządów wewnętrznych, uszkodzeniami naczyń krwionośnych oraz zaburzeniami immunologicznymi. Większość zgonów jest związana z włóknieniem płuc, nadciśnieniem płucnym i uszkodzeniami serca.*

##### Skuteczność kliniczna i praktyczna

*Analizę skuteczności rytuksymabu w twardzinie oceniano w dwóch randomizowanych badaniach klinicznych (Boonstra 2017, Daoussis 2010). W badaniu Boonstra 2017 nie stwierdzono istotnych statystycznie różnic między grupą przyjmującą rytuksymab a grupą kontrolną pod względem przeżycia wolnego od progresji (PFS), zmian natężonej pojemności życiowej (FVC), zdolności dyfuzji gazów w płucach (DLCO), oceny stanu zdrowia wg kwestionariusza HAQ i zmian wyników w zmodyfikowanej skali Rodnana (mRSS), jak również jakości życia (wg. kwestionariusza SF-36 oraz EQ-5D) w 24-miesięcznym okresie obserwacji.*



Z kolei w badaniu Daoussis 2010 w rocznym okresie obserwacji, w grupie otrzymującej rytuksymab stwierdzono istotną statystycznie poprawę stanu zdrowia ocenianego przy pomocy skali mRSS i kwestionariusza HAQ. W badaniach oceniających skuteczność praktyczną stosowania rytuksymabu w twardzinie układowej (Daoussis 2017) stwierdzono, że w dwuletnim okresie terapia ta nie ma istotnego wpływu na przeżycie całkowite, obserwuje się jednakże poprawę lub stabilizację w zakresie niektórych parametrów wydolności oddechowej (FEV i DLCO).

Według wytycznych klinicznych oraz zdaniem ekspertów, pomimo braku wystarczających danych naukowych, rytuksymab może być stosowany w leczeniu twardziny w przypadku występowania zapalenia stawów (czwarta linia leczenia po niepowodzeniu metotreksatu, niskich dawek glikokortykosteroidów i leków przeciwmalarycznych), w zaawansowanym włóknieniu płuc (trzecia linia leczenia po niepowodzeniu leczenia mykofenolanem mofetylu i dożylnym cyklofosfamidem, a przed przeszczepem szpiku).

#### Bezpieczeństwo stosowania

Rytuksymab jest lekiem obecnym na rynku od wielu lat, a jego profil bezpieczeństwa został dobrze poznany. Podczas jego stosowania najczęściej występują zaburzenia związane z układem krwiotwórczym, infekcje (w tym ciężkie), nudności i zmiany skórne.

#### Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Rytuksymab nie jest zarejestrowany do stosowania u pacjentów z twardziną układową, jednakże dostępne dane dotyczące skuteczności i bezpieczeństwa w omawianym wskazaniu sugerują, że korzyści zdrowotne przeważają nad ryzykiem jego stosowania.

#### Konkurencyjność cenowa

Koszt netto wnioskowanej terapii jest wysoki: koszt 3 cykli terapii wynosi około [REDACTED] zł (koszt jednej fiołki ok. [REDACTED] zł).

#### Wpływ na wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorców

Na podstawie opinii ekspertów, liczebność populacji docelowej, która przyjmowałaby rytuksymab oszacowano na 5-500 osób rocznie. Koszty terapii rytuksymabem populacji docelowej (5-500 pacjentów) oszacowano: za 3 cykle – od [REDACTED] do [REDACTED] zł netto, za roczną terapię – [REDACTED] do [REDACTED] zł.

#### Alternatywna technologia medyczna, w rozumieniu ustawy o świadczeniach, oraz jej efektywność kliniczna i bezpieczeństwo stosowania

Zgodnie z obwieszczeniem Ministra Zdrowia z dnia 27.02.2019 r., spośród zalecanych w wytycznych klinicznych cząsteczek do stosowania w leczeniu



*twardziny układowej, wszystkie są aktualnie refundowane w Polsce. W związku z powyższym można założyć, że w rozważanym przypadku nie ma technologii lekowej, która mogłaby stanowić alternatywną terapię dla wnioskowanej populacji.*

**Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt. 4 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2018 r., poz. 1510, z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, nr: OT.422.29.2019 „MabThera (rytuksymab) we wskazaniu: twardzina układowa (ICD-10: M34) w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych”.  
Data ukończenia: 3 kwietnia 2019 r.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Roche Polska Sp. z o.o.).

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem Roche Polska Sp. z o.o. o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

**Podstawa prawna wyłączenia jawności:** art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2018 r., poz. 1330 z późn. zm.) w zw. z art. 11 ust. 2 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2018 r., poz. 419 z późn. zm.).

**Organ dokonujący wyłączenia jawności:** Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji.

**Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności:** Roche Polska Sp. z o.o.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 89/2019 z dnia 8 kwietnia 2019 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Nexavar (sorafenib) we wskazaniu: rak pęcherzykowy tarczycy (ICD-10: C73)

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Nexavar (sorafenib), tabletki á 200 mg, we wskazaniu: rak pęcherzykowy tarczycy (ICD-10: C73), pod warunkiem zastosowania ceny sorafenibu nie wyższej niż w programach lekowych.*

#### Uzasadnienie

##### Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

*Rak pęcherzykowy tarczycy jest nowotworem o stosunkowo dobrym rokowaniu i u większości chorych leczonych chirurgicznie z uzupełniającym leczeniem jodem-131 uzyskuje się trwałe wyleczenie. W przypadku jednak progresji lub rozsiewu po leczeniu i oporności na leczenie jodem-131 rokowanie staje się poważne: u większości chorych progresja choroby prowadzi w konsekwencji do śmierci. Wniosek dotyczy pacjenta, u którego nieskuteczne było leczenie chirurgiczne oraz leczenie jodem-131. Tym samym wnioskowane wskazanie zawiera się we wskazaniu rejestracyjnym leku Nexavar, który jest stosowany w takiej sytuacji klinicznej.*

##### Skuteczność kliniczna i praktyczna

*W badaniu z randomizacją DECISION (Bose i wsp. 2014), porównywano skuteczność kliniczną i bezpieczeństwo stosowania sorafenibu vs. placebo w leczeniu chorych z progresywnym, miejscowo zaawansowanym lub przerzutowym, zróżnicowanym rakiem tarczycy opornym na leczenie jodem radioaktywnym. Populacja chorych w tym badaniu była więc szersza niż wnioskowane wskazanie: chorzy na raka pęcherzykowego stanowili tylko kilka procent włączonych do badania DECISION (większość stanowili chorzy na raka brodawkowego). W badaniu wykazano istotnie statystycznie dłuższy czas do progresji (PFS, ang. progression-free survival) w grupie pacjentów otrzymujących sorafenib w porównaniu do grupy placebo (10,8 mies. vs 5,8*



mies.). Różnica PFS między grupą sorafenibu a grupą placebo nie była jednak istotna statystycznie w subpopulacji pacjentów z rakiem pęcherzykowym tarczycy, co można, w części, przypisać małej liczebności tej podgrupy. Wykazano istotne statystycznie różnice na niekorzyść sorafenibu w porównaniu do placebo dla jakości życia. Jednocześnie, nie wykazano zysku w zakresie przeżyć całkowitych.

#### Bezpieczeństwo stosowania

Stosowanie sorafenibu wiąże się z istotną klinicznie toksycznością. Najczęstszymi zdarzeniami niepożądanymi raportowanymi w badaniu DECISION były reakcja skórna ręka-stopa, biegunka, łysienie, wysypka, zmęczenie, utrata masy ciała, nadciśnienie.

#### Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Wskazanie, którego dotyczy wniosek mieści się w obrębie wskazania rejestracyjnego produktu leczniczego Nexavar. W związku z tym relacja korzyści do ryzyka stosowania leku została przeprowadzona przez EMA (ang. European Medicines Agency, Europejska Agencja Leków) i oceniono ją jako pozytywną. Należy jednak zwrócić uwagę na to, że nie udokumentowano wpływu stosowania Nexavaru na przeżycia chorych na zróżnicowanego raka tarczycy (raka pęcherzykowego), czyli taki typ, który posiada analizowany pacjent, wykazano natomiast niekorzystny wpływ na jakość życia.

#### Konkurencyjność cenowa

Alternatywną technologię dla sorafenibu stanowi w omawianym wskazaniu lenwatynib (aktualnie nie jest on finansowany w Polsce w omawianym wskazaniu). Koszt 3 cykli terapii lekiem Nexavar (sorafenib) wyniesie ok. 43 tys. zł wg ceny z Obwieszczenia Ministra Zdrowia bądź ok. 26,2 tys. zł wg ceny z komunikatu DGL. Z obliczeń analityków AOTMiT wynika, iż koszt 3 cykli terapii sorafenibem jest niższy od porównywalnego kosztu lenwatynibu.

#### Wpływ na wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorców

Populacja docelowa w analizowanym wskazaniu wyniesie od 10 do 70 pacjentów rocznie. Do obliczeń przyjęto średnią z tych szacunków (35 osób). Roczny koszt terapii wyniesie ok. 11 mln zł lub 18 mln zł w zależności od przyjęcia ceny wg DGL lub Obwieszczenia Ministra Zdrowia. Oszacowania te obarczone są dużą niepewnością, gdyż brak jest danych epidemiologicznych dotyczących liczby chorych na raka pęcherzykowego tarczycy opornych na leczenie jodem radioaktywnym.

#### Alternatywna technologia medyczna, w rozumieniu ustawy o świadczeniach, oraz jej efektywność kliniczna i bezpieczeństwo stosowania

Lekiem stosowanym obok sorafenibu w omawianym wskazaniu jest lenwatynib. Najnowsze amerykańskie wytyczne NCCN 2018 określają lenwatynib jako terapię

*preferowaną w stosunku do sorafenibu. Lenwatinib nie jest obecnie refundowany w Polsce. W przypadku chorych, u których nie można zastosować sorafenibu lub lenwatinibu, stosuje się leczenie objawowe.*

**Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt. 4 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2018 r., poz. 1510, z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, nr: OT.422.26.2019 „Nexavar (sorafenib) we wskazaniu: rak pęcherzykowy tarczycy (ICD10: C73)”. Data ukończenia: 3 kwietnia 2019 r.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 90/2019 z dnia 8 kwietnia 2019 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Xolair (omalizumab) we wskazaniu: astma oskrzelowa alergiczna (ICD-10: J45.0) IgE - zależna w populacji pacjentów poniżej 12 roku życia

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Xolair (omalizumab), roztwór do wstrzykiwań, ampułkostrzykawka à 150 mg/ml, we wskazaniu: „astma oskrzelowa alergiczna (ICD-10: J45.0) IgE - zależna w populacji pacjentów poniżej 12 roku życia”. Rada stoi na stanowisku, że lek Xolair może być stosowany zgodnie z ChPL, czyli od 6 r. ż.*

#### Uzasadnienie

##### Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

*Wniosek dotyczy pacjenta pediatrycznego (wiek 10 lat). Produkt leczniczy Xolair podlegał ocenie Agencji we wskazaniu w ramach uzgodnionego programu lekowego: leczenie ciężkiej astmy alergicznej IgE zależnej omalizumabem (ICD-10 J45.0). Zarówno Rada Przejrzystości w Stanowisku nr 104/2016 z dn. 26 września 2016 r., jak i Prezes Agencji w Rekomendacji nr 62/2016 z dn. 30 września 2016 r. uznali za zasadne finansowanie omalizumabu ze środków publicznych, u pacjentów powyżej 6 r. ż.*

##### Skuteczność kliniczna i praktyczna

*Dostępne dowody naukowe (Teach 2015; Odajima 2015) wskazują na skuteczność kliniczną omalizumabu w ciężkiej astmie oskrzelowej. W odnalezionych badaniach obserwacyjnych stwierdzono korzystny wpływ omalizumabu w populacji dzieci z ostrą astmą alergiczną na kontrolę astmy, odsetek zaostrzeń i ataków astmy, liczbę hospitalizacji z powodu astmy czy obniżenie dawki wziewnych kortykosteroidów.*



Bezpieczeństwo stosowania

W badaniach klinicznych z udziałem dzieci w wieku od 6 do 12 lat, najczęściej zgłaszanymi działaniami niepożądanymi były: ból głowy, gorączka oraz ból w nadbrzuszu. Większość tych działań miało łagodne lub umiarkowane nasilenie.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Została pozytywnie oceniona w procesie rejestracji leku.

Konkurencyjność cenowa

Cena wraz z instrumentem dzielenia ryzyka powinna być identyczna z obowiązującą dla programu lekowego.

Wpływ na wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorców

Koszt terapii powinien być zgodny z kosztem stosowania omalizumabu w programie lekowym. Szacunek potencjalnej populacji pacjentów obarczony jest dużą niepewnością. Według ekspertów będzie to od 10 do 200 osób. Terapia musi być kontynuowana w sposób ciągły.

Alternatywna technologia medyczna, w rozumieniu ustawy o świadczeniach, oraz jej efektywność kliniczna i bezpieczeństwo stosowania

Nie występuje.

**Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt. 4 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2018 r., poz. 1510, z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, nr: OT.422.28.2019 „Xolair (omalizumab) we wskazaniu: astma oskrzelowa alergiczna (ICD-10: J45.0) IgE-zależna w populacji pacjentów poniżej 12 roku życia”. Data ukończenia: 5 kwietnia 2019 r.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 27/2019 z dnia 8 kwietnia 2019 roku  
w sprawie zmiany technologii medycznej w zakresie wybranych  
propozycji zmian w zakresie rehabilitacji leczniczej dotyczących  
rehabilitacji kardiologicznej

*Rada Przejrzystości uważa za zasadną zmianę technologii medycznych w zakresie rehabilitacji kardiologicznej, pod warunkiem poddania proponowanej zmiany niezależnej, zewnętrznej ocenie efektywności medycznej i efektywności ekonomicznej, w warunkach programu pilotażowego.*

### Uzasadnienie

#### Problem decyzyjny

*Niektórzy pacjenci leczeni z powodów kardiologicznych wymagają rehabilitacji w warunkach stacjonarnych, szczególnie chorzy z ciężką niewydolnością serca lub po zabiegach kardiochirurgicznych. Aktualnie obserwuje się, iż z rehabilitacji stacjonarnej często korzystają pacjenci, którzy mogą być rehabilitowani w warunkach ambulatoryjnych bądź podlegać rehabilitacji ogólnoustrojowej.*

#### Dowody naukowe

*Badania naukowe odnoszące się do ogólnej populacji pacjentów z ostrymi zespołami wieńcowymi, w tym zawałem serca, nie przynoszą jednoznacznego rozstrzygnięcia co do skuteczności rehabilitacji. Należy zwrócić uwagę, iż sposób postępowania z tymi chorymi zmienił się z chwilą powszechnego wprowadzenia kardiologii interwencyjnej. Należy prowadzić systematyczny przegląd aktualnych danych naukowych i stopniowo nowelizować wytyczne w odniesieniu do poszczególnych podgrup chorych i trybów rehabilitacji.*

#### Problem ekonomiczny

*Dostępne dane nie wskazują na problem dostępności do stacjonarnej rehabilitacji kardiologicznej. Brakuje też przekonujących argumentów dla radykalnego zwiększania wolumenu świadczeń w tym zakresie. Należy raczej koncentrować się na udzielaniu świadczeń w warunkach ambulatoryjnych. Skutki ekonomiczne przedstawionego modelu powinny zostać ocenione w programie pilotażowym.*





### Główne argumenty decyzji

*Do stacjonarnej rehabilitacji powinno się kwalifikować tylko pacjentów, którzy tego bezwzględnie wymagają. Zasadniczymi kryteriami powinny być: ciężka niewydolność serca i stany po zabiegach kardiochirurgicznych. Kryteria powinny stanowić wytyczne, ale nie być obligatoryjne.*

*Pozostali pacjenci mogą być kierowani do innych trybów rehabilitacji.*

### **Tryb wydania stanowiska**

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2018 r., poz. 1510, z późn. zm.), w związku z art. 39 ust. 3 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.), z uwzględnieniem opracowania analitycznego AOTMiT nr: AOTMiT-WS.431.5.2019 „Zmiana technologii medycznych w zakresie rehabilitacji kardiologicznej”. Data ukończenia: 3 kwietnia 2019 r. Wybrane propozycje stanowią element dokumentu „Koncepcji zmian organizacji i funkcjonowania rehabilitacji leczniczej w systemie ochrony zdrowia w Polsce”.