



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

BP.401.43.2019.LAn

Protokół nr 41/2019
z posiedzenia Rady Przejrzystości
w dniu 14 października 2019 roku
w siedzibie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (Agencji)

Michał Myśliwiec otworzył posiedzenie o godzinie 10:01.

Członkowie Rady Przejrzystości (Rada) obecni przy rozpoczęciu posiedzenia (wymagane kworum 7 osób):

1. Anna Cieślik
2. Anna Gręziak
3. Dorota Kilańska
4. Michał Myśliwiec – prowadził posiedzenie
5. Rafał Niżankowski
6. Rafał Suwiński
7. Piotr Szymański
8. Dariusz Tereszowski-Kamiński

Członkowie Rady nieobecni na posiedzeniu:

1. Jakub Pawlikowski

Proponowany porządek obrad:

1. Ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku RoActemra (tocilizumab) w ramach programu lekowego: „Leczenie reumatoidalnego zapalenia stawów i młodzieńczego idiopatycznego zapalenia stawów o przebiegu agresywnym (ICD-10: M05, M06, M08)”.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Kalydeco (ivacaftorum) w ramach programu lekowego „Leczenie mukowiscydozy (ICD-10 E84)”.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Nplate (romiplostimum) w ramach programu lekowego: „Leczenie dorosłych chorych na pierwotną małopłytkowość immunologiczną (ICD-10 D69.3)”.
5. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Nplate (romiplostimum) w ramach programu lekowego: „Leczenie pediatrycznych chorych na przewlekłą pierwotną małopłytkowość immunologiczną (ICD-10 D69.3)”.
6. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Vectibix (panitumumab) w ramach programu lekowego: B.4. „Leczenie zaawansowanego raka jelita grubego (ICD-10 C18 - C20)”.



7. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Skyrizi (ryzankizumab) w ramach programu lekowego: „Leczenie umiarkowanej i ciężkiej postaci łuszczyicy plackowatej (ICD-10 L40.0)”.
8. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Adcetris (brentuximabum vedotinum) w ramach programu lekowego: „Leczenie opornych i nawrotowych postaci chłoniaków CD30+ (C81 Choroba Hodgkina, C84.5 inne i nieokreślone chłoniaki T)”.
9. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Kisqali (rybocyklib) we wskazaniu: rak piersi (ICD-10: C50) w populacji pacjentek w wieku przedmenopauzalnym, po zastosowaniu leczenia systemowego.
10. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Defitelio (defibrotyd) we wskazaniu: retinoblastoma (ICD-10: C69.2) u pacjentów pediatrycznych.
11. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Defitelio (defibrotyd) we wskazaniu: mieszany guz germinalny (ICD-10: C71.5) u pacjentów pediatrycznych.
12. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Defitelio (defibrotyd) we wskazaniu: mięsak Ewinga (ICD-10: C49.0) u pacjentów pediatrycznych.
13. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Perjeta (pertuzumab) we wskazaniu: rak piersi HER2+ z przerzutami (ICD-10: C50.8) jako I linii leczenia systemowego.
14. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Perjeta (pertuzumab) we wskazaniu: rozszany rak piersi (ICD-10: C50.9) u pacjentki leczonej wcześniej antracyklinami.
15. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej współfinansowanym przez UE w ramach EFS: „Zapobieganie ciężkim zapaleniom płuc i powikłaniom pogrypowym u osób z chorobami nowotworowymi” (woj. wielkopolskie).
16. Przygotowanie opinii o projektach programów polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego:
 - 1) „Program profilaktyki chorób układu krążenia dla mieszkańców powiatu zawierciańskiego w wieku 40+ na lata 2020-2022”,
 - 2) „Program profilaktyki zakażeń meningokokowych dla mieszkańców miasta Gostynina na lata 2019-2022”.
17. Losowanie składu Zespołu na kolejne posiedzenia Rady.
18. Zakończenie posiedzenia.

Ad 1. Rada jednogłównie (7 głosów „za”; w głosowaniu nie brał udziału Dariusz Tereszkowski-Kamiński, z uwagi na chwilową nieobecność na sali) zatwierdziła zaproponowany porządek obrad.

Żaden z członków Rady nie zgłosił konfliktu interesów.

Ad 2. Analityk Agencji zaprezentował informacje z raportu o leku RoActemra (wniosek refundacyjny) w ramach programu lekowego dot. leczenia reumatoidalnego zapalenia stawów i młodzieńczego idiopatycznego zapalenia stawów. W ramach wstępnej dyskusji, głos zabrał Rafał Niżankowski, a następnie propozycję stanowiska przedstawiła Anna Cieślik.

Na posiedzenie przybył Tomasz Pasierski, który nie zadeklarował konfliktu interesów.

W dyskusji udział brali: Piotr Szymański, Anna Cieślik, Michał Myśliwiec, Anna Gręziak i Rafał Niżankowski.

Prowadzący zarządził głosowanie w wyniku którego Rada 6 głosami „za”, przy 3 głosach „przeciw” (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 1 do protokołu).

Ad 3. Analitik Agencji streścił raport dot. leku Kalydeco (wniosek refundacyjny) w ramach programu lekowego dot. leczenia mukowiscydozy. We wstępnej dyskusji głos zabrali: Michał Myśliwiec, Piotr Szymański i Rafał Niżankowski, a propozycję stanowiska Rady przedstawiła Anna Gręziak.

Nad tematem dyskutowali: Piotr Szymański, Anna Gręziak i Dorota Kilańska, po czym Rada wysłuchała dopuszczonych do udziału w posiedzeniu ekspertów i przedstawicieli pacjentów, którzy odpowiadali także na pytania Rady.

W formułowaniu treści stanowiska udział brali: Michał Myśliwiec, Piotr Szymański, Anna Gręziak i Dorota Kilańska.

Prowadzący zarządził głosowanie w wyniku którego Rada 8 głosami „za”, przy 1 głosie „przeciw” (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 2 do protokołu).

Ad 4. Głos zabrali Tomasz Pasierski i Michał Myśliwiec, a analitik Agencji zaprezentował dane dot. leku Nplate (wniosek refundacyjny) w ramach programu lekowego dot. leczenia dorosłych chorych na pierwotną małopłytkowość immunologiczną. Propozycję stanowiska Rady przedstawił Tomasz Pasierski.

Rada wysłuchała dopuszczonego do udziału w posiedzeniu eksperta, który odpowiadał także na pytania Rady.

W modyfikowaniu treści stanowiska udział brali: Piotr Szymański, Tomasz Pasierski i Michał Myśliwiec, po czym Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko.

Ad 5. Analitik Agencji omówił informacje dot. leku Nplate (wniosek refundacyjny) w ramach programu lekowego dot. leczenia pediatrycznych chorych na przewlekłą pierwotną małopłytkowość immunologiczną. W ramach wstępnej dyskusji głos zabrali: Michał Myśliwiec, Tomasz Pasierski i Anna Gręziak, a propozycję stanowiska Rady przedstawił Tomasz Pasierski.

W formułowaniu treści stanowiska udział brali: Michał Myśliwiec, Piotr Szymański i Tomasz Pasierski, po czym Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 3 do protokołu).

Ad 4. cd. Rada zdecydowała o konieczności zmodyfikowania treści stanowiska, w czym udział brali Michał Myśliwiec i Piotr Szymański, po czym Prowadzący zarządził reasumpcję głosowania, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 4 do protokołu).

Ad 6. Analitik Agencji omówił informacje dot. leku Vectibix (wniosek refundacyjny) w ramach programu lekowego dot. leczenia raka jelita grubego, a propozycję stanowiska Rady przedstawił Rafał Niżankowski.

W doprecyzowywaniu treści stanowiska udział brali: Rafał Suwiński, Michał Myśliwiec, Rafał Niżankowski i Piotr Szymański, po czym Rada wysłuchała dopuszczonego do udziału w posiedzeniu eksperta.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 5 do protokołu).

Ad 7. Analityk Agencji omówił informacje dot. leku Skyrizi (wniosek refundacyjny) w ramach programu lekowego dot. leczenia łuszczycy plackowatej, a propozycję stanowiska Rady przedstawił Piotr Szymański.

W dyskusji udział brali Michał Myśliwiec i Piotr Szymański, po czym Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 6 do protokołu).

Ad 8. Analityk Agencji omówił informacje dot. leku Adcetris (wniosek refundacyjny) w ramach programu lekowego dot. leczenia chłoniaków CD30+.

Ad 7. cd. Rada wysłuchała dopuszczonego do udziału w posiedzeniu przedstawiciela pacjentów, który odpowiadał także na pytania Rady.

Ad 8. cd. Analityk Agencji kontynuował prezentację dot. leku Adcetris, po czym propozycję stanowiska Rady przedstawił Piotr Szymański.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 7 do protokołu).

Ad 9. Analityk Agencji podsumował dane z raportu dot. leku Kisqali (RDTL) we wskazaniu dot. raka piersi. Propozycję opinii przedstawił Rafał Suwiński.

Treść uchwały zmodyfikowali Piotr Szymański i Michał Myśliwiec, po czym Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 8 do protokołu).

Ad 10. Analityk Agencji przedstawił prezentację dot. leku Defitelio (RDTL) we wskazaniu dot. retinoblastomy. Głos zabrał Tomasz Pasierski, a propozycję opinii przedstawił Michał Myśliwiec.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 9 do protokołu).

Ad 11. Analityk Agencji przedstawił prezentację dot. leku Defitelio (RDTL) we wskazaniu dot. guza germinalnego, a propozycję opinii przedstawił Michał Myśliwiec.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 10 do protokołu).

Ad 12. Analityk Agencji omówił dane dot. leku Defitelio (RDTL) we wskazaniu dot. mięsaka Ewinga, a propozycję opinii przedstawił Michał Myśliwiec.

W dyskusji głos zabrali: Anna Gręziak, Michał Myśliwiec i Tomasz Pasierski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 11 do protokołu).

Ad 13. Analityk Agencji zaprezentował informacje dot. leku Perjeta (RDTL) we wskazaniu dot. raka piersi HER2+, a propozycję opinii przedstawił Rafał Suwiński.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 12 do protokołu).

Ad 14. Analityk Agencji przedstawił prezentację dot. leku Perjeta (RDTL) we wskazaniu dot. rozlanego raka piersi, a propozycję opinii przedstawił Rafał Suwiński.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 8 głosami „za”, przy 1 głosie „przeciw” (9 osób obecnych) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 13 do protokołu).

Ad 15. Analityk Agencji przedstawił podsumowanie raportu o programie polityki zdrowotnej woj. wielkopolskiego, a propozycję opinii przedstawił Dariusz Tereszowski-Kamiński.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 14 do protokołu).

Ad 16. 1) Analityk Agencji zaprezentował dane o programie polityki zdrowotnej pow. zawierciańskiego w zakresie profilaktyki chorób układu krążenia. Głos w dyskusji zabrali Tomasz Pasierski i Michał Myśliwiec, a propozycję opinii przedstawiła Dorota Kilańska.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 15 do protokołu).

2) Analityk Agencji omówił informacje o programie polityki zdrowotnej m. Gostynin dot. zakażeń meningokokowych. Głos zabrali: Michał Myśliwiec, Tomasz Pasierski i Dorota Kilańska, a następnie propozycję opinii przedstawiła Dorota Kilańska.

Głos zabrał Michał Myśliwiec, po czym zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 7 głosami „za”, przy 2 głosach „przeciw” (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 16 do protokołu).

Ad 17. Przeprowadzono losowania składów Zespołów na posiedzenia Rady w dn. 4 i 12 listopada br.

Ad 18. Posiedzenie zakończyło się o godzinie 15:14.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 87/2019 z dnia 14 października 2019 roku
w sprawie oceny leku RoActemra (tocilizumab) w ramach programu
lekowego „Leczenie reumatoidalnego zapalenia stawów
i młodzieńczego idiopatycznego zapalenia stawów o przebiegu
agresywnym (ICD-10 M05, M06, M08)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktów leczniczych:

- *RoActemra (tocilizumab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 20 mg/ml, 1, fiol. 4 ml, kod EAN: 5909990678273,*
- *RoActemra (tocilizumab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 20 mg/ml, 1, fiol. 10 ml, kod EAN: 590999067825,*
- *RoActemra (tocilizumab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 20 mg/ml, 1, fiol. 20 ml, kod EAN: 5909990678266,*
- *RoActemra (tocilizumab), roztwór do wstrzykiwań, 162 mg, 4, amp.-strzyk. 0,9 ml, kod EAN 5902768001075,*

w ramach programu lekowego „Leczenie reumatoidalnego zapalenia stawów i młodzieńczego idiopatycznego zapalenia stawów o przebiegu agresywnym (ICD-10 M05, M06, M08)”, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie ich bezpłatnie, pod warunkiem obniżenia kosztów leku.

Rada Przejrzystości nie akceptuje zaproponowanego instrumentu dzielenia ryzyka i uważa za właściwe dalsze, znaczące obniżenie ceny leku oraz wprowadzenie mechanizmu RSS, polegającego na określeniu rocznego pułapu maksymalnych wydatków płatnika publicznego, odpowiadającego kosztowi terapii populacji ograniczonej do pacjentów, u których nastąpiło niepowodzenie terapii co najmniej dwoma lekami modyfikującymi przebieg choroby/lekami immunosupresyjnymi. Oznacza to brak możliwości finansowania tocyilizumabu u pacjentów z umiarkowaną postacią RZS, wcześniej nie leczonych.

Rada zgłasza uwagi do projektu programu lekowego.

W opinii Rady, zasadne wydaje się uwzględnienie w nazwie uzgodnionego programu lekowego populacji wnioskowanej, tj. pacjentów o umiarkowanej postaci RZS: „Leczenie reumatoidalnego zapalenia stawów i młodzieńczego idiopatycznego zapalenia stawów o przebiegu umiarkowanym i agresywnym



(ICD-10 M05, M06, M08)”. Z projektu programu lekowego należy usunąć zapis: „w przypadku braku możliwości stosowania leczenia biologicznego łącznie z metotreksatem, preferowanym lekiem biologicznym jest tocilizumab”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Wnioskowany program lekowy (w porównaniu z aktualnie funkcjonującym) zakłada poszerzenie populacji pacjentów o tych z umiarkowaną postacią choroby. Populacja wnioskowana jest węższa niż zarejestrowane wskazanie produktu RoActemra (tocilizumab) (TOC). Wnioskodawca zaproponował RSS oraz finasowanie leku w ramach istniejącej grupy limitowej.

Problem kliniczny

Reumatoidalne zapalenie stawów (RZS, gościec) jest przewlekłą chorobą układową tkanki łącznej o podłożu immunologicznym. Charakteryzuje się nieswoistym zapaleniem symetrycznym stawów, występowaniem zmian pozastawowych i powikłań układowych. Prowadzi ona do niepełnosprawności, inwalidztwa i przedwczesnej śmierci.

Dowody naukowe

Wskazanymi przez wnioskodawcę technologiami opcjonalnymi są leki modyfikujące przebieg choroby (csDMARD). Odnaleziono 3 wytyczne kliniczne, które zalecały stosowanie leków biologicznych (w tym antagonisty receptora interleukiny 6) w leczeniu RZS.

Wyniki uzyskane w badaniu TOWARD w czasie 24 tygodni wskazują na wyższą skuteczność TOC+csDMARD względem PLC+csDMARD – odpowiedź ACR20 (61% vs 24%), ACR50 (37% vs 10%) i ACR70 (19% vs 3%) występowała istotnie statystycznie częściej w grupie chorych z umiarkowaną postacią RZS poddanych terapii TOC+csDMARD w porównaniu z tymi, którzy przyjmowali PLC + csDMARD. W ramach dodatkowej analizy skuteczności przedstawiono wyniki 2 badań nierandomizowanych (Ruiz-Limon 2017 i Wakabayashi 2011).

Wyniki analizy bezpieczeństwa uzyskane w populacji chorych o umiarkowanej aktywności choroby wskazują na porównywalny profil bezpieczeństwa TOC+csDMARD względem csDMARD.

Problem ekonomiczny

Wszystkie z 9 odnalezionych rekomendacji refundacyjnych są pozytywne bądź pozytywne warunkowe oraz odnoszą się do obydwu postaci analizowanej interwencji. Tylko 2 spośród odnalezionych rekomendacji odnoszą się wyłącznie do TOC stosowanego w populacji chorych na RZS o nasileniu ciężkim (NICE 2016 oraz PBAC 2016). Pozostałych 7 dokumentów odnosi się do rekomendacji wydanych dla finansowania ze środków publicznych TOC w skojarzeniu z MTX u chorych na RZS o nasileniu umiarkowanym do ciężkiego.

Objęcie refundacją ocenianej technologii lekowej będzie związane z [REDAKTED]. Zdaniem Rady, należy obniżyć koszty leku.

Główne ograniczenia analizy ekonomicznej wynikają z niepewności oszacowania populacji oraz kształtowania się udziałów w rynku analizowanych leków oraz leków, które mogą uzyskać pozytywne rekomendacje refundacyjne w najbliższym czasie, co ma największy wpływ na kształtowanie się przyszłych wydatków płatnika publicznego.

Główne argumenty decyzji

Wyniki uzyskane w przedstawionych badaniach wskazują na wyższą skuteczność TOC+csDMARD względem PLC+csDMARD w grupie chorych z umiarkowaną postacią RZS.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 784 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr: OT.4331.42.2019 „Wniosek o objęcie refundacją leków RoActemra (tocilizumab) w ramach programu lekowego «Leczenie reumatoidalnego zapalenia stawów i młodzieńczego idiopatycznego zapalenia stawów o przebiegu agresywnym (ICD-10 M 05, M 06, M 08)»”. Data ukończenia: 03.10.2019 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** 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 2016 r., poz.1764 z późn. zm.) w zw. z art. 11 ust. 4 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2018 r., poz. 419).

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

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 88/2019 z dnia 14 października 2019 roku

w sprawie oceny leku Kalydeco (ivacaftorum) w ramach programu lekowego „Leczenie mukowiscydozy (ICD-10 E84)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktów leczniczych:

- *Kalydeco (ivacaftorum), tabletki powlekane, 150 mg, 56 tabletek, kod EAN: 00351167104606,*
- *Kalydeco (ivacaftorum), granulaty w saszetce, 50 mg, 56 saszetek, kod EAN: 00351167112205,*
- *Kalydeco (ivacaftorum), granulaty w saszetce, 75 mg, 56 saszetek, kod EAN: 00351167113103,*

w ramach programu lekowego „Leczenie mukowiscydozy (ICD-10 E84)”, w ramach nowej grupy limitowej i wydawanie ich bezpłatnie, pod warunkiem opracowania programu opieki koordynowanej nad dziećmi i dorosłymi z mukowiscydozą.

Rada Przejrzystości nie akceptuje zaproponowanego instrumentu dzielenia ryzyka i uważa za konieczne znaczące obniżenie ceny leku.

Rada uważa że stosowanie leku powinno stanowić element kompleksowego programu skoordynowanej opieki nad chorymi z mukowiscydozą.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Mukowiscydoza (ang. cystic fibrosis, CF) jest wrodzoną, nieuleczalną, wieloukładową chorobą, uwarunkowaną genetycznie i dziedziczną autosomalnie recesywnie. Choroba ujawnia się u osób, które odziedziczyły nieprawidłowe geny od obojga rodziców.

Przyczyną choroby są mutacje w genie CFTR (ang. cystic fibrosis transmembrane conductance regulator, błonowy regulator przewodnictwa), umiejscowionym w chromosomie 7. Gen ten odpowiada za działanie białka, tworzącego kanał chlorkowy w błonie komórkowej. Zablockowanie lub upośledzenie transportu chloru z komórki i zwiększenie absorpcji sodu do komórki powoduje zmniejszenie zawartości wody w wydzielinie przewodów



wyprowadzających gruczołów zewnętrznych. Kumulacja gęstej i lepkiej wydzieliny prowadzi do upośledzenia drożności, przewlekłego stanu zapalnego i destrukcji przewodów wyprowadzających, głównie w układzie oddechowym i przewodzie pokarmowym (trzustka, wątroba, pęcherzyk żółciowy, jelita).

Objawy mukowiscydozy mogą pojawić się w różnym okresie życia człowieka. Najczęściej występują od urodzenia lub pojawiają się we wczesnym dzieciństwie. Mogą też wystąpić w okresie dojrzewania lub nawet dopiero u osób dorosłych i wtedy mają tendencję do nasilania się z czasem.

Typowa dla mukowiscydozy niewydolność zewnętrznych trzustki (dotycząca 80% chorych), wymaga przyjmowania przez całe życie preparatów enzymatycznych. Bardzo istotne znaczenie ma dieta wysokoenergetyczna i bogato-białkowa. Stopień nasilenia objawów klinicznych mukowiscydozy różni się w zależności od rodzaju mutacji genu odpowiedzialnego za rozwój choroby. Mutacje klasy I-III (G542X, W1282X, R553X, 3950delT; F508del, N1303K; G551D) odpowiadają za ciężką postać mukowiscydozy. Mutacje genu CFTR, należące do III klasy, nazywane są mutacjami bramkującymi.

Mukowiscydozę zalicza się do kategorii chorób rzadkich.

Dowody naukowe

Do przeglądu systematycznego wnioskodawcy włączono 11 opracowań wtórnych, 2 randomizowane, podwójnie zaślepienie badania kliniczne III fazy, porównujące terapię iwakaftorem z placebo w leczeniu chorych na mukowiscydozę: w wieku 6 - 11 lat (ENVISION) oraz w wieku ≥ 12 roku życia (STRIVE), z potwierdzonym rozpoznaniem CF, mutacją G551D genu CFTR na co najmniej jednym allelu oraz badanie PERSIST, stanowiące otwartą fazę przedłużoną badań ENVISION i STRIVE.

Część wyników nie została opublikowana w pełnym tekście i z tego powodu przedstawiono, uznawane za wysokiej jakości, dane z publikacji EMA (w tym ChPL).

W badaniach wykazano, że lek Kalydeco skutecznie poprawia czynność płuc oraz zmniejsza częstość i czas trwania zaostrzeń choroby oskrzelowo-płucnej. Ocenę skuteczności ustalono w oparciu o stopień poprawy wartości wskaźnika FEV1. Stosowanie Kalydeco poprawia także wyniki w innych badanych punktach końcowych, takich jak stężenie chlorków w pocie, masa ciała i wzrost oraz parametry funkcjonowania trzustki.

Rekomendacje kliniczne

CFF (ang. Cystic Fibrosis Foundation) 2018 roku rekomenduje stosowanie iwakaftoru u pacjentów chorych na CF w wieku od 2 lat z mutacją bramkującą genu CFTR inną niż G551D lub R117H, niezależnie od wartości ppFEV1. Iwakaftor w ramach standardowej opieki u chorych z mutacjami bramkującymi

zalecany jest przez europejskie towarzystwo mukowiscydozy (ECFS). Polskie wytyczne KOMPAS z 2017 r., które w dużej mierze odnoszą się do zaleceń ECFS, nie zawierają co prawda zaleceń dot. terapii iwakaftorem, jednak wskazują, że nowe metody terapii, tj. modulatory białka CFTR, do których można zaliczyć iwakaftor, mogą być przełomowe i doprowadzić do zmiany przebiegu choroby. Wytyczne PTM z 2009 r. nie zawierają informacji odnośnie do terapii chorych na CF z zastosowaniem iwakaftoru, zostały jednak wydane zanim, w 2012 roku, produkt leczniczy Kalydeco został dopuszczony przez EMA do obrotu.

Zarówno wytyczne zagraniczne, jak i polskie zgadzają się, że mukowiscydoza jest chorobą wieloukładową, która wymaga zaangażowania w proces leczenia szerokiego grona specjalistów. Terapia powinna obejmować profilaktykę i leczenie choroby oskrzelowo-płucnej, leczenie żywieniowe i terapię niewydolności zewnątrzwydzielniczej trzustki, a także leczenie chorób towarzyszących i powikłań mukowiscydozy. W terapii chorób związanych z układem oddechowym zaleca się stosowanie antybiotykoterapii, leków mukolitycznych, rozszerzających oskrzela, przeciwzapalnych i przeciwgrzybiczych oraz fizjoterapię. Aktualnie w Polsce nie jest finansowana ze środków publicznych żadna terapia przyczynowa mukowiscydozy. Zdaniem ekspertów klinicznych, wprowadzenie refundacji leku Kalydeco może w sposób istotny poprawić sytuację pacjentów chorych na mukowiscydozę.

Problem ekonomiczny

Stosowanie terapii lekiem Kalydeco wraz z BSC, w porównaniu z jedynie BSC, wiąże się z [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED] Prawdopodobieństwo kosztowej użyteczności wnioskowanej technologii względem BSC wynosi [REDACTED]

[REDACTED] Współczynnik ICUR, z perspektywy NFZ, oszacowano na [REDACTED]/QALY z RSS i [REDACTED]/QALY bez RSS.

Wnioskowany lek jest finansowany w 15 krajach – Austria, Belgia, Czechy, Dania, Francja, Hiszpania, Holandia, Irlandia, Luksemburg, Niemcy, Norwegia, Słowenia, Szwecja, Wielka Brytania, Włochy – UE i EFTA na 31 wskazanych, z poziomem refundacji 100%. W 5 krajach – Dania, Holandia, Irlandia, Słowenia, Szwecja – uzgodniono limit wydatków, w tych krajach funkcjonują również instrumenty podziału ryzyka. Kalydeco nie jest finansowany ze środków publicznych w żadnym kraju o PKB zbliżonym do Polski.

Zdaniem eksperta, [REDAKTOWANE]. Oceniana technologia byłaby stosowana u 98% chorych.

Główne argumenty decyzji

Kalydeco (iwafaktor) jest jedynym lekiem działającym na przyczynę mukowiscydozy. Randomizowane badania kliniczne wykazały jego skuteczność w poprawie: FEV1, stężenia chlorków w pocie, masy ciała i wzrostu oraz parametrów funkcjonowania trzustki.

Iwakaftor jest zalecany przez Europejskie Towarzystwo Mukowiscydozy (ECFS) w standardowej opiece nad chorymi na mukowiscydozę z przedmiotowymi mutacjami bramkującymi. Rekomendacje zagranicznych agencji HTA były pozytywne lub warunkowo pozytywne. Lek Kalydeco został uznany za opcję terapeutyczną, która odpowiada na potrzeby wdrożenia innowacyjnych, skutecznych i bezpiecznych metod leczenia mukowiscydozy.

Wnioskowany lek jest finansowany w 15 krajach UE i EFTA na 31 wskazanych (Austria, Belgia, Czechy, Dania, Francja, Hiszpania, Holandia, Irlandia, Luksemburg, Niemcy, Norwegia, Słowenia, Szwecja, Wielka Brytania i Włochy). W 5 krajach (Dania, Holandia, Irlandia, Słowenia, Szwecja) uzgodniono limit wydatków oraz instrumenty podziału ryzyka.

Aktualnie w Polsce nie jest finansowana ze środków publicznych żadna terapia przyczynowa mukowiscydozy. Zdaniem ekspertów klinicznych, wprowadzenie refundacji leku Kalydeco może w sposób istotny poprawić sytuację pacjentów chorych na mukowiscydozę. Pomimo, iż dowody naukowe na skuteczność preparatu Kalydeco są ograniczone, przede wszystkim przez brak twardych punktów końcowych i informacji o odległych skutkach stosowania, Rada uważa, że lek powinien być refundowany w ramach programu lekowego „Leczenie mukowiscydozy (ICD-10 E84)”, pod warunkiem znaczącego obniżenia jego ceny.

Finansowanie leku jest zasadne, pod warunkiem właściwego określenia mechanizmu dzielenia ryzyka i ceny, po wprowadzeniu zmian systemowych, zapewniających koordynowaną opiekę nad dziećmi i dorosłymi z mukowiscydozą, uwzględniającą także inne, bardziej podstawowe leki, zabiegi rehabilitacyjne i inne potrzeby pacjentów.

Rada uważa za konieczne opracowane programu opieki koordynowanej nad dziećmi i dorosłymi z mukowiscydozą.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 784

z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr: OT.4331.45.2019 „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu produktu leczniczego Kalydeco (iwakaftor) w ramach programu lekowego: «Leczenie mukowiscydozy (ICD-10 E84)»”. Data ukończenia: 04.10.2019 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinie przedstawicieli pacjentów/ekspertów przedstawione w trakcie posiedzenia.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Vertex Pharmaceuticals Poland Sp. z o.o.).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Vertex Pharmaceuticals 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 2016 r., poz. 1764 z późn. zm.) w zw. z art. 11 ust. 4 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2018 r., poz. 419).

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

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Vertex Pharmaceuticals Poland Sp. z o.o.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 89/2019 z dnia 14 października 2019 roku

w sprawie oceny leku Nplate (romiplostinum) w ramach programu lekowego „Leczenie pediatrycznych chorych na przewlekłą pierwotną małopłytkowość immunologiczną (ICD-10 D69.3)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktów leczniczych:

- *Nplate (romiplostinum), proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 250 µg, 1 fiol. proszku + zestaw do rozpuszczenia leku, kod EAN 5909990766994,*
- *Nplate (romiplostinum), proszek do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 125 µg, 1 fiol. proszku, kod EAN 8715131018139,*

w ramach programu lekowego „Leczenie pediatrycznych chorych na przewlekłą pierwotną małopłytkowość immunologiczną (ICD-10 D69.3)”, w ramach nowej grupy limitowej i wydawanie ich bezpłatnie, pod warunkiem aby koszt terapii romiplostysem nie był wyższy od kosztu terapii eltrombopagiem.

Rada Przejrzystości uważa

Rada Przejrzystości nie zgłasza uwag do programu lekowego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Pierwotna małopłytkowość immunologiczna jest rzadką chorobą występującą również w populacji pediatrycznej. Nawracające krwotoki znacznie obniżają jakość życia. Romiplostyn, podobnie jak eltrombopag, stymuluje trombocytopoezę i jest stosowany po wyczerpaniu innych form terapii, głównie splenektomii i glikokortykosteroidów. Splenektomii nie powinno się wykonywać u dzieci. Romiplostyn jest rozpatrywany jedynie jako ostatnia opcja leczenia, w przypadku oporności na inne terapie u chorych, u których krwawienia są częste.



Dowody naukowe

Skuteczność terapii nie budzi wątpliwości, gdyż opiera się na przekonujących badaniach randomizowanych i przeglądzie systematycznym z metaanalizą.

Problem ekonomiczny

Wiarygodność przedstawionej analizy ekonomicznej jest ograniczona. Jednak oczekiwany wpływ na budżet płatnika nie będzie zbyt duży.

Główne argumenty decyzji

- *Duża skuteczność terapii w „niezaspokojonej potrzebie medycznej”.*
- *Lek rekomendowany jest we wszystkich wytycznych jako lek ostatniej szansy.*
- *Funkcjonuje już program lekowy z podobnie skutecznym eltrombopagiem.*

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 784 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr: OT.4331.22.2019 „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu produktu leczniczego Nplate (romiplostim) w ramach programu lekowego: «Leczenie pediatrycznych chorych na przewlekłą pierwotną małopłytkowość immunologiczną (ICD-10 D69.3)»”. Data ukończenia: 03.10.2019 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Amgen 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 2016 r., poz. 1764 z późn. zm.) w zw. z art. 11 ust. 4 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2018 r., poz. 419).

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

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Amgen Sp. z o.o.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 90/2019 z dnia 14 października 2019 roku
w sprawie oceny leku Nplate (romiplostinum) w ramach programu
lekowego „Leczenie dorosłych chorych na pierwotną małopłytkowość
immunologiczną (ICD-10 D69.3)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktów
lecniczych:

- *Nplate (romiplostinum), proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 250 µg, 1 fiol. proszku + zestaw do rozpuszczenia leku, kod EAN 5909990766994,*
- *Nplate (romiplostinum), proszek do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 125 µg, 1 fiol. proszku, kod EAN 8715131018139,*

w ramach programu lekowego „Leczenie dorosłych chorych na pierwotną małopłytkowość immunologiczną (ICD-10 D69.3)”, w ramach nowej grupy limitowej i wydawanie ich bezpłatnie, pod warunkiem aby koszt jego stosowania nie był wyższy od kosztów stosowania eltrombopagu.

Rada Przejrzystości uważa [redacted]
[redacted] biorąc pod uwagę wielkość populacji leczonej.

Rada nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Pierwotna małopłytkowość immunologiczna charakteryzuje się nawracającymi krwotokami, które znacznie obniżają jakość życia, a zlokalizowane w OUN i przewodzie pokarmowym grożą śmiercią. Romiplostin stymuluje trombocytopoezę i jest stosowany po wyczerpaniu innych form terapii, głównie splenektomii i glikokortykosteroidów oraz eltrombopagu.

Dowody naukowe

Wprawdzie brak jest badań dotyczących śmiertelności, ale dowody naukowe średniej jakości wskazują na korzystny wpływ romiplostynu na liczbę płytek i zmniejszenie częstości krwawień.



Problem ekonomiczny

Terapia romiplostynem [REDAKTOWANE]
u pacjentów po splenektomii, natomiast [REDAKTOWANE]
[REDAKTOWANE], zarówno w populacji po splenektomii jak też w populacji
wcześniej leczonej eltrombopagiem. Korzyści z leczenia romiplostynem, z uwagi
na zmniejszenie częstości krwawień i konieczności przetaczania preparatów
krwiopochodnych, mogą równoważyć koszty samej terapii.

Główne argumenty decyzji

- Duża skuteczność terapii w „niezaspokojonej potrzebie medycznej”.
- Lek rekomendowany we wszystkich wytycznych.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 784 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr: OT.4331.21.2019 „Wniosek o objęcie refundacją leku Nplate (romiplostym) w ramach programu lekowego: «Leczenie dorosłych chorych na pierwotną małopłytkowość immunologiczną (ICD-10 D69.3)»”. Data ukończenia: 4 października 2019 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia eksperta przedstawiona w trakcie posiedzenia.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Amgen 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 2016 r., poz. 1764 z późn. zm.) w zw. z art. 11 ust. 4 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2018 r., poz. 419).

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

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Amgen Sp. z o.o.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 91/2019 z dnia 14 października 2019 roku
w sprawie oceny leku Vectibix (panitumumab) w ramach programu
lekowego „Leczenie zaawansowanego raka jelita grubego
(ICD 10: C18 – C20)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktów leczniczych:

- Vectibix (panitumumab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 20 mg/ml, 1 fiol. 5 ml, kod EAN: 05909990646531,
- Vectibix (panitumumab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 20 mg/ml, 1 fiol. 20 ml, kod EAN: 05909990646555,

w ramach programu lekowego „Leczenie zaawansowanego raka jelita grubego (ICD 10: C18 – C20)”, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie ich bezpłatnie, pod warunkiem obniżenia kosztów leczenia.

Rada Przejrzystości uważa zaproponowany instrument dzielenia ryzyka za daleko niewystarczający.

Rada nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Wniosek dotyczy I linii leczenia dorosłych pacjentów z przerzutowym rakiem jelita grubego, u których nie stwierdzono mutacji w genach KRAS i NRAS oraz w genie BRAF. Rada Przejrzystości w dniu 2 czerwca 2014 r. zajęła stanowisko we wnioskowanej technologii. Rada stwierdziła wówczas, iż dane epidemiologiczne wskazują, że rak jelita grubego jest jednym z najczęstszych nowotworów, zarówno u mężczyzn, jak i kobiet, i jednocześnie obserwuje się wzrost zapadalności na ten typ nowotworu. Dowody naukowe wskazują na skuteczność panitumumabu - PAN (wydłużenie OS, PFS, wyższe PR) w grupie chorych bez mutacji w obrębie rodziny genów RAS, a jego stosowanie w pierwszej linii leczenia zalecają rekomendacje międzynarodowe (ESMO, NCCN) i krajowe (PTOK). Zdaniem ekspertów klinicznych, skuteczność leku jest potwierdzona, a względnie korzystny profil bezpieczeństwa uzasadnia



rozważenie możliwości stosowania leku w trybie ambulatoryjnym, co obniży koszty związane z jego podawaniem. Koszt leku jest bardzo wysoki.

Aktualnie Rada uważa ówczesne swoje stanowisko za nadal aktualne.

Dowody naukowe

Dowody dotyczące efektywności wnioskowanej technologii pochodzą z jednej kontrolowanej próby klinicznej. Nie odnaleziono badań umożliwiających bezpośrednio porównanie skuteczności wnioskowanej technologii z wybranym komparatorem - cetuksymab (CET) + schemat chemioterapii (FOLFIRI). W pojedynczych ramionach badań dotyczących pacjentów RAS WT wykazano, iż mediana przeżycia całkowitego (OS) pacjentów leczonych schematem PAN+FOLFIRI wynosiła od 26 do 49 miesięcy, natomiast pacjentów leczonych CET+FOLFIRI od 28,4 do 33,1 mies. Mediana przeżycia bez progresji choroby (PFS) w tej samej populacji wynosiła od 11,2 do 15 miesięcy wśród pacjentów leczonych PAN+FOLFIRI oraz od 10,4 do 11,4 mies. wśród pacjentów leczonych CET+FOLFIRI. W ramach populacji KRAS WT mediany OS wyniosły odpowiednio od 11,2 do 15 mies. (PAN+FOLFIRI) i od 10,4 do 11,4 mies. (CET+FOLFIRI).

Problem ekonomiczny

Przeprowadzono analizę minimalizacji kosztów, która wykazała [REDAKTOWANE], co wynikało głównie z [REDAKTOWANE]. Założenie to traci aktualność wobec możliwości stosowania [REDAKTOWANE] w ramach programu lekowego.

Główne argumenty decyzji

Jest to lek o udowodnionym działaniu, ale powinien być tańszy, zwłaszcza w świetle prognozowanego wzrostu populacji nim leczonej.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 784 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr: OT.4331.39.2019 „Wniosek o objęcie refundacją leku Vectibix (panitumumab) we wskazaniu: «Leczenie zaawansowanego raka jelita grubego (ICD-10 C18-C20)»”. Data ukończenia: 3 października 2019 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia eksperta przedstawiona w trakcie posiedzenia.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Amgen 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 2016 r., poz. 1764 z późn. zm.) w zw. z art. 11 ust. 4 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2018 r., poz. 419).

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

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Amgen Sp. z o.o.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 92/2019 z dnia 14 października 2019 roku
w sprawie oceny leku Skyrizi (ryzankizumab) w ramach programu
lekowego „Leczenie umiarkowanej i ciężkiej postaci łuszczycy
plackowatej (ICD-10 L40.0)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Skyrizi (ryzankizumab), roztwór do wstrzykiwań, 75 mg/0,83 ml, 2 ampułkostrzykawki + 2 gaziki nasączone alkoholem, EAN: 08054083019277, w ramach programu lekowego „Leczenie umiarkowanej i ciężkiej postaci łuszczycy plackowatej (ICD-10 L40.0)”, w ramach nowej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie.

Rada Przejrzystości nie zgłasza uwag do propozycji instrumentu dzielenia ryzyka.

Rada nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Łuszczycyca (ICD-10 L40.0) jest jednym z najczęstszych genetycznie uwarunkowanych schorzeń skóry (do 2% ogółu populacji w Polsce), o przewlekłym i nawrotowym przebiegu, istotnie negatywnie wpływająca na jakość życia. Produkt leczniczy Skyrizi jest wskazany w leczeniu umiarkowanej do ciężkiej łuszczycy plackowatej u osób dorosłych, które kwalifikują się do leczenia ogólnego. Skyrizi nie był dotychczas przedmiotem oceny w AOTMiT. Wnioskowane wskazanie refundacyjne jest zawężone względem wskazania rejestracyjnego, tzn. obejmuje dorosłych pacjentów z ciężką łuszczycą plackowatą, którzy przestali reagować na leczenie lub mają przeciwwskazania, albo nie tolerują innych metod leczenia ogólnego.

Inne technologie medyczne, stosowane w ramach PL „Leczenie umiarkowanej i ciężkiej postaci łuszczycy plackowatej (ICD-10 L40.0)”, tworzą, każda osobno, odrębne grupy limitowe: 1050.1, blokery TNF – adalimumab; 1050.2, blokery TNF – etanercept; 1050.3, blokery TNF – infliksimab; 1184.0, iksekizumab; 1180.0, sekukinumab; 1107.0, ustekinumab.



Dowody naukowe

Ryzankizumab jest humanizowanym przeciwciałem monoklonalnym, należącym do podklasy 1 immunoglobuliny G, które z wysokim powinowactwem selektywnie wiąże się z podjednostką p19 ludzkiej cytokiny interleukiny 23 i hamuje jej interakcję z kompleksem receptora dla IL-23. Lek wymieniany jest w części wytycznych, poświęconych terapii łuszczycy, jako opcja terapeutyczna w III linii terapii, w przypadku braku odpowiedzi na inne interwencje ogólne. W randomizowanych badaniach klinicznych dobrej jakości, w których porównywano ryzankizumab z ustekinumabem wykazano wyższość tego pierwszego, zarówno w zakresie odpowiedzi na leczenie, jak i poprawy jakości życia. Porównania pośrednie z innymi lekami obarczone są wysokim stopniem niepewności. Choć profil bezpieczeństwa ryzankizumabu wydaje się akceptowalny to jednak, z tych samych względów, nie można w sposób pewny ocenić jego bezpieczeństwa względem pozostałych leków biologicznych (za wyjątkiem ustekinumabu).

Problem ekonomiczny

Obecnie ze środków publicznych w Polsce, w ramach programu lekowego B.47 „Leczenie umiarkowanej i ciężkiej postaci łuszczycy plackowatej (ICD-10 L40.0)”, finansowane są: adalimumab, etanercept, infliksimab, iksekizumab, sekukinumab oraz ustekinumab.

Stosowanie ryzankizumabu w miejsce ustekinumabu jest [redacted], przy czym, zgodnie z wynikami analiz ekonomicznych, stosowanie ryzankizumabu jest, [redacted]. Wydanie pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych produktu leczniczego Skyrizi spowoduje [redacted]

Główne argumenty decyzji

Lek wymieniany jest w części wytycznych poświęconych terapii łuszczycy, jako opcja terapeutyczna w III linii terapii, w przypadku braku odpowiedzi na inne interwencje ogólne. Stosowanie ryzankizumabu w miejsce ustekinumabu jest [redacted], przy czym, zgodnie z wynikami analiz ekonomicznych, stosowanie ryzankizumabu jest, [redacted].

Uwagi Rady

Ponieważ inne technologie medyczne, stosowane w ramach PL „Leczenie umiarkowanej i ciężkiej postaci łuszczycy plackowatej (ICD-10 L40.0)”, tworzą każda osobno odrębne grupy limitowe, po ocenie następstw ekonomicznych,

należy rozważyć utworzenie dla nich wspólnej grupy limitowej.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 784 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr: OT.4331.40.2019 „Wniosek o objęcie refundacją leku Skyrizi (ryzankizumab) we wskazaniu: Leczenie umiarkowanej i ciężkiej postaci łuszczycy plackowatej (ICD-10 L40.0)”. Data ukończenia: 4 października 2019 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem AbbVie 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 2016 r., poz. 1764 z późn. zm.) w zw. z art. 11 ust. 4 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2018 r., poz. 419).

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

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: AbbVie Polska Sp. z o.o.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 93/2019 z dnia 14 października 2019 roku
w sprawie oceny leku Adcetris (brentuximabum vedotinum)
w ramach programu lekowego „Leczenie opornych i nawrotowych
postaci chłoniaków CD30+ (C81 Choroba Hodgkina; C84.5 Inne
i nieokreślone chłoniaki T)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Adcetris (brentuximabum vedotinum), proszek do sporządzania koncentratu roztworu do infuzji, 50 mg, 1, fiol, proszku, kod EAN: 5909991004545, w ramach programu lekowego „Leczenie opornych i nawrotowych postaci chłoniaków CD30+ (C81 Choroba Hodgkina; C84.5 Inne i nieokreślone chłoniaki T)”, w ramach istniejącej grupy limitowej 1142.0 Brentuksymab vedotin i wydawanie go bezpłatnie.

Rada Przejrzystości nie zgłasza uwag do propozycji instrumentu dzielenia ryzyka.

Rada nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Brentuksymab vedotin jest koniugatem przeciwciała i leku (ang. antibody drug conjugate, ADC), które transportuje lek przeciwnowotworowy, powodujący apoptozę komórek nowotworowych z ekspresją CD30. Zarejestrowane wskazania do jego stosowania to m.in.: leczenie dorosłych pacjentów z nawrotowym lub opornym na leczenie chłoniakiem ziarnicznym CD30+, po autologicznym przeszczepieniu krwiotwórczych komórek macierzystych (ASCT) lub po co najmniej dwóch wcześniejszych terapiach, w przypadku, gdy ASCT lub wielolekowa chemioterapia nie stanowi opcji leczenia oraz leczenie dorosłych pacjentów z chłoniakiem skórnym T-komórkowym CD30+, u których stosowano uprzednio co najmniej 1. leczenie systemowe. Oceniana technologia nie była wcześniej przedmiotem oceny Agencji w rozpatrywanym wskazaniu: podawaniu pacjentom z wysokim ryzykiem nawrotu lub progresji choroby po ASCT.



Dowody naukowe

Pojedyncze randomizowane badanie kliniczne, o niskim ryzyku błędu systematycznego, wskazuje na istotne wydłużenie czasu do progresji choroby w populacji otrzymującej brentuksymab vedotin, w porównaniu z placebo. Obecnie brak jest danych dotyczących wpływu terapii na przeżycie całkowite.

Ryzyko wystąpienia zdarzeń niepożądanych ogółem, w tym uznanych za związane z leczeniem, zdarzeń niepożądanych ≥ 3 . stopnia i prowadzących do redukcji dawki, a także ciężkich zdarzeń niepożądanych ogółem, w tym uznanych za związane z leczeniem, było istotnie wyższe w grupie otrzymującej brentuksymab vedotin, w porównaniu z placebo.

Lek jest rekomendowany do refundacji przez duże europejskie agencje oceny technologii medycznych.

Problem ekonomiczny

Aktualnie nie jest stosowana żadna forma farmakoterapii ukierunkowanej na utrzymanie remisji lub niwelowanie ryzyka nawrotu choroby. Stosowanie brentuksymabu vedotin jest od obserwacji pacjenta. Wartość ICUR, znajduje się progu opłacalności, o którym mowa w ustawie o refundacji. Brentuksymab vedotin jest z dużym prawdopodobieństwem . Przyjmuje się, że w przypadku podjęcia pozytywnej decyzji refundacyjnej dla brentuksymabu vedotin w ocenianym wskazaniu, rozpowszechnienie terapii tym lekiem w populacji docelowej będzie kształtować się na poziomie , skutkując . Przyjęty mechanizm dzielenia ryzyka nie powoduje istotnej zmiany w szacunkach farmako-ekonomicznych.

Główne argumenty decyzji

Zarejestrowane wskazania do stosowania brentuksymab vendotin to m.in.: leczenie dorosłych pacjentów z nawrotowym lub opornym na leczenie chłoniakiem ziarnicznym CD30+. Pojedyncze randomizowane badanie kliniczne, o niskim ryzyku błędu systematycznego, wskazuje na istotne wydłużenie czasu do progresji choroby w populacji otrzymującej brentuksymab vedotin, w porównaniu z placebo.

Lek jest rekomendowany do refundacji przez duże europejskie agencje oceny technologii medycznych.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 784 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr: OT.4331.43.2019 „Wniosek o objęcie refundacją leku Adcetris (brentuksymab vedotin) w ramach programu lekowego: «Leczenie opornych i nawrotowych postaci chłoniaków CD30+ (C81 Choroba Hodgkina; C84.5 Inne i nieokreślone chłoniaki T)»”. Data ukończenia: 4 października 2019 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Takeda Pharma Sp. z o.o.).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Takeda Pharma 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 2016 r., poz. 1764 z późn. zm.) w zw. z art. 11 ust. 4 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2018 r., poz. 419).

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

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Takeda Pharma Sp. z o.o.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 322/2019 z dnia 14 października 2019 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Kisqali (rybocyklib) we wskazaniu: rak piersi (ICD-10: C50) w populacji pacjentek w wieku przedmenopauzalnym, po zastosowaniu leczenia systemowego

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Kisqali (rybocyklib), tabletki á 200 mg we wskazaniu: rak piersi (ICD-10: C50) w populacji pacjentek w wieku przedmenopauzalnym, po zastosowaniu leczenia systemowego, pod warunkiem stosowania u chorych w dobrym stanie ogólnym, z rakiem zaawansowanym, obecnością receptorów hormonalnych. Zdaniem Rady, przed przystąpieniem chorej do programu ratunkowego dostępu do technologii lekowych, należy ponownie ocenić możliwość jej włączenia do niedawno rozszerzonego programu, opisanego w załączniku B.9 do obwieszczenia Ministra Zdrowia z dnia 2019-08-30.

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Wniosek w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Kisqali (rybocyklib) dotyczy chorej w wieku przedmenopauzalnym, w której przeprowadzono 4 cykle chemioterapii AC, następnie stosowano hormonoterapię, inhibitory aromatazy + goserelinę. Rada nie dysponuje danymi dotyczącymi statusu HER komórek guza chorej (dodatni vs. ujemny) ani szczegółowymi danymi dotyczącymi dotychczasowego przebiegu leczenia. Rada nie uzyskała też informacji, które jednoznacznie pozwalałyby stwierdzić, iż chora wskazana w Zleceniu MZ, nie kwalifikuje się do leczenia w ramach programu lekowego, opisanego w załączniku B.9 do obwieszczenia Ministra Zdrowia z dnia 2019-08-30. Należy jednak zaznaczyć, że niekontrolowana progresja choroby w trakcie hormonoterapii zaawansowanego raka piersi prowadzi do uogólnienia choroby, pogorszenia stanu ogólnego pacjenta i w konsekwencji do śmierci.



Skuteczność kliniczna i praktyczna

Nie odnaleziono badań ściśle spełniających kryteria włączenia. Jednocześnie, zbliżona do opisywanej sytuacja kliniczna obejmowała chorych włączonych do badania MONALEESA-7 w którym stosowano rybocyklib lub placebo w połączeniu z tamoksyfenem i gosereliną lub niesteroidowym inhibitorem aromatazy i gosereliną w leczeniu kobiet w wieku przedmenopauzalnym z obecnością receptorów hormonalnych, HER2-ujemnym, zaawansowanym rakiem piersi). Przeżycie całkowite (OS) w 42 mies. wynosiło 70,2% w grupie rybocyklibu i 46,0% w grupie placebo. Odsetek chorych, które przeżyły do 42 mies. badania i nie wykazywały progresji choroby podczas leczenia terapią drugiej linii wyniósł 54,6% w grupie rybocyklibu i 37,8% w grupie placebo.

Na podstawie wyników badania MONALEESA-7 oraz wyników innych badań, rybocyklib zarejestrowano do stosowania w leczeniu kobiet chorych na miejscowo zaawansowanego lub uogólnionego raka piersi z obecnością receptorów hormonalnych (ang. hormone receptor - HR positive), bez nadekspresji receptora ludzkiego naskórkowego czynnika wzrostu 2 (HER2) w skojarzeniu z inhibitorem aromatazy lub fulwestrantem, jako leczenie hormonalne pierwszego rzutu lub u kobiet, które wcześniej otrzymały leczenie hormonalne. U kobiet w okresie przed- lub okołomenopauzalnym leczenie hormonalne należy stosować w skojarzeniu z agonistami gonadoliberyny (LHRH).

Bezpieczeństwo stosowania

Lek jest dość dobrze tolerowany. Spośród odnotowanych w badaniu MONALEESA-7 zdarzeń niepożądanych w 3. lub 4. stopniu o szczególnym znaczeniu klinicznym należy wymienić neutropenię (u około 60% chorych), działania toksyczne wątrobowo-żółciowe (u 11% chorych) i wydłużony odstęp QT (1,8% chorych).

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania została oceniona przez EMA na etapie rejestracji. Lek zarejestrowano we wnioskowanym wskazaniu, można więc wnioskować, że relacja ta jest pozytywna.

Konkurencyjność cenowa

Przedstawiona w Zleceniu MZ wartość netto jednego opakowania preparatu Kisqali 63 tabl. 200 mg wynosi [REDACTED]

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

Oszacowano, że liczba chorych mogących stosować rybocyklib w wieku przedmenopauzalnym, po zastosowaniu leczenia systemowego wynosi około [REDACTED]. Koszt netto leczenia rybocyklibem wyniesie, więc, około [REDACTED] w skali roku.

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

Jako komparatory dla wnioskowanej technologii można przyjąć palbocyklib oraz abemacyklib. Zakładając jednak, zgodnie z ustawą o świadczeniach opieki zdrowotnej, że zostały już wyczerpane u danego świadczeniobiorcy wszystkie możliwe do zastosowania w tym wskazaniu dostępne technologie medyczne, finansowane ze środków publicznych, pacjentka nie powinna kwalifikować się do leczenia palbocyklibem w ramach programu lekowego B.9. „Leczenie raka piersi (ICD-10 C 50)”, by móc wnioskować o ratujący dostęp do technologii medycznych. Abemacyklib nie jest refundowany w omawianym wskazaniu. Brak jest też badań bezpośrednio porównujących abemacyklib, palbocyklib i rybocyklib w leczeniu zaawansowanego raka piersi.

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 2019 r., poz. 1373 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, nr: OT.422.83.2019, „Kisqali (rybocyklib) we wskazaniu: rak piersi (ICD-10: C50) w populacji pacjentek w wieku przedmenopauzalnym, po zastosowaniu leczenia systemowego”. Data ukończenia: 9 października 2019 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców (Novartis Poland Sp. z o.o.; Eli Lilly Polska Sp. z o.o. i Pfizer Polska Sp. z o.o.).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Novartis Poland Sp. z o.o.; Eli Lilly Polska Sp. z o.o. i Pfizer 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 2016 r., poz.1764 z późn. zm.) w zw. z art. 11 ust. 4 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2018 r., poz. 419).

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

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Novartis Poland Sp. z o.o.; Eli Lilly Polska Sp. z o.o. i Pfizer Polska Sp. z o.o..



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 323/2019 z dnia 14 października 2019 roku
w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych,
w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych,
leku Defitelio (defibrotyd) we wskazaniu: profilaktyka choroby
zarostowej żył wątroby (VOD) u pacjentów pediatrycznych
poddawanych przeszczepowi krwiotwórczych komórek macierzystych
w związku z retinoblastomą

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Defitelio (defibrotyd), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji we wskazaniu: profilaktyka choroby zarostowej żył wątroby (VOD) u pacjentów pediatrycznych poddawanych przeszczepowi krwiotwórczych komórek macierzystych w związku z retinoblastomą.

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Siatkówczak (retinoblastoma) jest najczęstszym, pierwotnym, wewnątrzgałkowym, złośliwym guzem siatkówki u dzieci. Częstość choroby szacuje się na 1:15 000–20 000 żywych urodzeń. Oporne i nawrotowe siatkówczaki mogą być wskazaniem do transplantacji komórek macierzystych układu krwiotwórczego (hemopoietic stem cell transplantation – HSCT). Jego rzadkim (ok. 4%), ale ciężkim i często śmiertelnym powikłaniem może być zarostowa choroba żył (venous occlusive disease – VOD) wątroby. Defidelio zarejestrowany jest w leczeniu ciężkiej VOD, ale nie w jej profilaktyce. W sierpniu 2019 r RP zaopiniowała negatywnie finansowanie Defitelio w profilaktyce VOD po HSCT.

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Defibrotyd jest mieszaniną oligonukleotydów o działaniu przeciwzakrzepowym, fibrynolitycznym, przeciwadhezyjnym oraz przeciwzapalnym. Jego działanie polega głównie na zmniejszaniu nadmiernej aktywacji komórek śródbłonna oraz przywracaniu równowagi między procesami zakrzepowymi i fibrynolizą. Dokładny mechanizm działania defibrotydu nie został jednak w pełni wyjaśniony.



Nie odnaleziono żadnych dowodów naukowych, dotyczących skuteczności defibrotyny w profilaktyce VOD po HSCT u pediatrycznych pacjentów z retinoblastomą. Lek został zarejestrowany przez EMA w 2013 r, w leczeniu ciężkiej postaci VOD przy braku kompletnych informacji o jego korzyściach i bezpieczeństwie („under exceptional circumstances”), które mają być rejestrowane przez producenta leku i corocznie przeglądane przez EMA (ostatnio 17.05.2019).

Odnaleziono 2 randomizowane badania oceniające skuteczność i bezpieczeństwo defibrotyny w profilaktyce choroby zarostowej żył wątroby (VOD) po przeszczepieniu komórek krwiotwórczych: Corbacioglu 2012 oraz badanie HARMONY, które będzie zakończone w 2021 r. Odnaleziono też przegląd systematyczny Cochrane z metaanalizą (Cheuk 2015), porównujący interwencje w zakresie profilaktyki VOD u osób poddawanych HSCT, obejmujący jedno badanie z użyciem defibrotyny (Corbacioglu 2012). Zgodnie z wnioskami autorów przeglądu Cochrane, badania niskiej jakości wskazują, że tylko kwas ursodeoksycholowy może zmniejszać częstość VOD wątroby oraz śmiertelność. Optymalna profilaktyka nie jest dobrze zdefiniowana i nie ma dowodów na skuteczność stosowania heparyn, defibrotyny, glutaminy, antytrombiny i PGE1. Autorzy wskazują na konieczność przeprowadzenia wysokiej jakości RCT. Odnaleziono 2 wytyczne praktyki klinicznej rekomendujące stosowanie defibrotyny w profilaktyce VOD.

Konsultant Krajowy w dziedzinie onkologii i hematologii dziecięcej napisał, że „defibrotyna – to jedyny lek o udowodnionej skuteczności w profilaktyce i terapii choroby zarostowej żył wątrobowych u pacjentów pediatrycznych poddawanych HSCT”.

Bezpieczeństwo stosowania

Do działań niepożądanych leku, najczęściej obserwowanych podczas leczenia VOD, zalicza się krwotoki (z przewodu pokarmowego, płucne i krwawienia z nosa) oraz niedociśnienie.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

We wskazaniu rejestracyjnym produktu leczniczego Defitelio nie ma wnioskowanego wskazania (profilaktyka). Tym samym, EMA nie przeprowadziła oceny relacji korzyści do ryzyka dla niniejszego wskazania. Zgodnie z opinią KK w dziedzinie onkologii i hematologii dziecięcej): „lek jest bardzo bezpieczny. Daje szansę przeżycia około 50% w postaci ciężkiej.”

Konkurencyjność cenowa

Optymalna profilaktyka VOD nie jest dobrze zdefiniowana i nie ma dowodów na skuteczność stosowania heparyn, defibrotyny, glutaminy, antytrombiny i PGE1, a słabe dowody wskazują na skuteczność stosowania kwasu ursodeoksycholowego, który nie jest drogi i dostępny w Polsce.

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

Zgodnie z opinią KK, Agencja przyjęła, że populacja docelowa wyniesie 5 pacjentów pediatrycznych. W skrajnych wariantach wydatki płatnika mogą wynieść [REDACTED] przy zużyciu 40 fiolek leku/cykl, [REDACTED] przy zużyciu 80 fiolek leku/cykl.

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

Optymalna profilaktyka VOD nie jest dobrze zdefiniowana i nie ma dowodów na skuteczność stosowania heparyn, defibrotynu, glutaminy, antytrombiny i PGE1, a słabe dowody wskazują na skuteczność kwasu ursodeoksycholowego.

Główne argumenty decyzji

Rada uważa, że w ramach RDTL nie powinien być rozważany lek stosowany profilaktycznie, szczególnie poza wskazaniami w ChPL. Defibrotyn ma udowodnioną skuteczność w leczeniu VOD wątroby, ale nie w jej profilaktyce.

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 2019 r., poz. 1373 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, nr: OT.422.79.2019, „Defitelio (defibrotyn) we wskazaniu: w profilaktyce choroby zarostowej żył wątroby (VOD) u pacjentów pediatrycznych poddawanych autologicznej transplantacji komórek macierzystych szpiku kostnego w związku z retinoblastomą w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych”. Data ukończenia: 9 października 2019 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców (Gentium Srl).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Gentium Srl 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 2016 r., poz. 1764 z późn. zm.) w zw. z art. 11 ust. 4 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2018 r., poz. 419).

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

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Gentium Srl.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 324/2019 z dnia 14 października 2019 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Defitelio (defibrotyd) we wskazaniu: profilaktyka choroby zarostowej żył wątroby (VOD) u pacjentów pediatrycznych poddawanych przeszczepowi krwiotwórczych komórek macierzystych w związku z mieszanym guzem germinalnym (ICD-10: C71.5)

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Defitelio (defibrotyd), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji we wskazaniu: profilaktyka choroby zarostowej żył wątroby (VOD) u pacjentów pediatrycznych poddawanych przeszczepowi krwiotwórczych komórek macierzystych w związku z mieszanym guzem germinalnym (ICD-10: C71.5).

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Guzy germinalne (pochodzenia zarodkowego) należą do najrzadziej występujących nowotworów wieku dziecięcego i stanowią jedynie 1–3% nowotworów złośliwych rozpoznawanych do 15. roku życia. Nowotwory germinalne mieszane stanowią 8% guzów germinalnych. Chemioterapia lub naświetlania mogą uszkadzać szpik kostny, co jest wskazaniem do transplantacji komórek macierzystych układu krwiotwórczego (hemopoietic stem cell transplantation – HSCT), której rzadkim, ale ciężkim i często śmiertelnym powikłaniem może być zarostowa choroba żył (venous occlusive disease – VOD) wątroby. Defidelio zarejestrowany jest w leczeniu ciężkiej VOD, ale nie w jej profilaktyce. Jeden z dwóch ekspertów (Konsultant Krajowy) uważa jednak, że lek może być stosowany zarówno w leczeniu jak też w profilaktyce VOD. W sierpniu 2019 r RP zaopiniowała negatywnie finansowanie Defitelio w profilaktyce VOD po HSCT, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych.

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Defibrotyd jest mieszaniną oligonukleotydów o działaniu przeciwzakrzepowym, fibrynolitycznym, przeciwadhezyjnym oraz przeciwzapalnym. Jego działanie



polega głównie na zmniejszaniu nadmiernej aktywacji komórek śródbłonka (zaburzenia czynności śródbłonka), modulacji homeostazy śródbłonka oraz przywracaniu równowagi między procesami zakrzepowymi i fibrynolizą. Dokładny mechanizm działania defibrotynu nie został jednak w pełni wyjaśniony.

Nie odnaleziono żadnych dowodów naukowych, dotyczących stosowania defibrotynu w profilaktyce VOD po HSCT u pediatrycznych pacjentów z guzami germinalnymi. Lek został zarejestrowany przez EMA w 2013 r, w leczeniu ciężkiej postaci VOD przy braku kompletnych informacji o jego korzyściach i bezpieczeństwie („under exceptional circumstances”), które mają być rejestrowane przez producenta leku i corocznie przeglądane przez EMA (ostatnio 17.05.2019).

Odnaleziono 2 randomizowane badania oceniające skuteczność i bezpieczeństwo defibrotynu w profilaktyce choroby zarostowej żył wątroby (VOD) po przeszczepieniu komórek krwiotwórczych: Corbacioglu 2012 oraz badanie HARMONY, które będzie zakończone w 2021 r. Odnaleziono też przegląd systematyczny Cochrane z metaanalizą (Cheuk 2015), porównujący interwencje w zakresie profilaktyki VOD u osób poddawanych HSCT., obejmujący jedno badanie z użyciem defibrotynu (Corbacioglu 2012). Zgodnie z wnioskami autorów przeglądu Cochrane, badania niskiej jakości wskazują, że tylko kwas ursodeoksycholowy może zmniejszać częstość VOD wątroby oraz śmiertelność. Optymalna profilaktyka nie jest dobrze zdefiniowana i nie ma dowodów na skuteczność stosowania heparynu, defibrotynu, glutaminy, antytrombiny i PGE1. Autorzy wskazują na konieczność przeprowadzenia wysokiej jakości RCT.

Odnaleziono 2 wytyczne praktyki klinicznej rekomendujące stosowanie defibrotynu w profilaktyce VOD.

Konsultant Krajowy w dziedzinie onkologii i hematologii dziecięcej napisał, że „defibrotyn – to jedyny lek o udowodnionej skuteczności w profilaktyce i terapii choroby zarostowej żył wątrobowych u pacjentów pediatrycznych poddawanych HSCT”.

Bezpieczeństwo stosowania

Do działań niepożądanych leku, najczęściej obserwowanych podczas leczenia VOD, zalicza się krwotoki (z przewodu pokarmowego, płucne i krwawienia z nosa) oraz niedociśnienie.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

We wskazaniu rejestracyjnym produktu leczniczego Defitelio nie ma wnioskowanego wskazania (profilaktyka VOD po HSCT). Tym samym, EMA nie przeprowadziła oceny relacji korzyści do ryzyka dla niniejszego wskazania.

Zgodnie z opinią KK w dziedzinie onkologii i hematologii dziecięcej): „lek jest bardzo bezpieczny. Daje szansę przeżycia około 50% w postaci ciężkiej.”

Konkurencyjność cenowa

Optymalna profilaktyka VOD nie jest dobrze zdefiniowana i nie ma dowodów na skuteczność stosowania heparyn, defibrotynu, glutaminy, antytrombiny i PGE1, a słabe dowody wskazują na skuteczność stosowania kwasu ursodeoksycholowego, który nie jest drogi i dostępny w Polsce.

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

Zgodnie z opinią KK, Agencja przyjęła, że populacja docelowa wyniesie 5 pacjentów pediatrycznych. Zgodnie z opinią Konsultanta krajowego, Agencja przyjęła, że populacja wyniesie 5 pacjentów pediatrycznych. W skrajnych wariantach wydatki płatnika mogą wynieść w wariantcie minimalnym [REDACTED], zaś w wariantcie maksymalnym [REDACTED].

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

Optymalna profilaktyka VOD nie jest dobrze zdefiniowana i nie ma dowodów na skuteczność stosowania heparyn, defibrotynu, glutaminy, antytrombiny i PGE1, a słabe dowody wskazują na skuteczność stosowania kwasu ursodeoksycholowego.

Główne argumenty decyzji

Rada uważa, że w ramach RDTL nie powinien być rozważany lek stosowany profilaktycznie, szczególnie poza wskazaniami w ChPL. Defibrotyn ma udowodnioną skuteczność w leczeniu VOD, ale nie w jej profilaktyce.

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 2019 r., poz. 1373 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, nr: OT.422.78.2019, „Defitelio (defibrotyn) we wskazaniu: profilaktyka choroby zarostowej żył wątroby (VOD) u pacjentów pediatrycznych poddawanych przeszczepowi krwiotwórczych komórek macierzystych w związku z mieszanym guzem germinalnym (ICD-10: C71.5) w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych”. Data ukończenia: 9 października 2019 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców (Gentium Srl).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Gentium Srl 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 2016 r., poz. 1764 z późn. zm.) w zw. z art. 11 ust. 4 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2018 r., poz. 419).

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

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Gentium Srl.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 325/2019 z dnia 14 października 2019 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Defitelio (defibrotyd) we wskazaniu: profilaktyka choroby zarostowej żył wątroby (VOD) u pacjentów pediatrycznych poddawanych przeszczepowi krwiotwórczych komórek macierzystych w związku z w związku z mięśniakiem Ewinga (kod ICD-10: C49.0)

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Defitelio (defibrotyd), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji we wskazaniu: profilaktyka choroby zarostowej żył wątroby (VOD) u pacjentów pediatrycznych poddawanych przeszczepowi krwiotwórczych komórek macierzystych w związku z mięśniakiem Ewinga (ICD-10: C71.5).

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Guz Ewinga należy do mięśniaków drobnokomórkowych, wywodzących się głównie z kości. Najczęściej dotyczy trzonu kości długich lub płaskich, kręgosłupa i miednicy. W 1. i 2. dekadzie życia mięśniak Ewinga jest 2. Po kostniakomięśnaku pierwotnym nowotworem złośliwym kości, pod względem częstości występowania (3 przypadki na milion; 40–60 zachorowań rocznie).

Chemioterapia lub naświetlania, stosowane w leczeniu guza Ewinga, mogą uszkadzać szpik kostny, co jest wskazaniem do transplantacji komórek macierzystych układu krwiotwórczego (hemopoietic stem cell transplantation – HSCT). Jego rzadkim, ale ciężkim i często śmiertelnym powikłaniem może być zarostowa choroba żył (venous occlusive disease – VOD) wątroby. Defitelio zarejestrowany jest w leczeniu ciężkiej VOD, ale nie w jej profilaktyce. W sierpniu 2019 r RP zaopiniowała negatywnie finansowanie Defitelio w profilaktyce VOD po HSCT.

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Defibrotyd jest mieszaniną oligonukleotydów o działaniu przeciwzakrzepowym, fibrynolitycznym, przeciwadhezyjnym oraz przeciwzapalnym. Jego działanie polega głównie na zmniejszeniu nadmiernej aktywacji komórek śródbłonna



(zaburzenia czynności śródbłonka), modulacji homeostazy śródbłonka oraz przywracaniu równowagi między procesami zakrzepowymi i fibrylizacją. Dokładny mechanizm działania defibrotynu nie został jednak w pełni wyjaśniony.

Odnaleziono 2 randomizowane badania oceniające skuteczność i bezpieczeństwo defibrotynu w profilaktyce choroby zarostowej żył wątroby (VOD) po przeszczepieniu komórek krwiotwórczych: Corbacioglu 2012 oraz badanie HARMONY, które będzie zakończone w 2021 r. Odnaleziono też przegląd systematyczny Cochrane z metaanalizą (Cheuk 2015), porównujący interwencje w zakresie profilaktyki VOD u osób poddawanych HSCT, obejmujący jedno badanie z użyciem defibrotynu (Corbacioglu 2012). Zgodnie z wnioskami autorów przeglądu Cochrane, badania niskiej jakości wskazują, że tylko kwas ursodeoksycholowy może zmniejszać częstość VOD wątroby oraz śmiertelność. Optymalna profilaktyka nie jest dobrze zdefiniowana i nie ma dowodów na skuteczność stosowania heparyn, defibrotynu, glutaminy, antytrombiny i PGE1. Autorzy wskazują na konieczność przeprowadzenia wysokiej jakości RCT. Odnaleziono 2 wytyczne praktyki klinicznej rekomendujące stosowanie defibrotynu w profilaktyce VOD.

Konsultant Krajowy w dziedzinie onkologii i hematologii dziecięcej napisał, że „defibrotyn –to jedyny lek o udowodnionej skuteczności w profilaktyce i terapii choroby zarostowej żył wątrobowych u pacjentów pediatrycznych poddawanych HSCT”.

Bezpieczeństwo stosowania

Do działań niepożądanych leku, najczęściej obserwowanych podczas leczenia VOD, zalicza się krwotoki (z przewodu pokarmowego, płucne i krwawienia z nosa) oraz niedociśnienie.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

We wskazaniu rejestracyjnym produktu leczniczego Defitelio nie ma wnioskowanego wskazania (profilaktyka). Tym samym, EMA nie przeprowadziła oceny relacji korzyści do ryzyka dla niniejszego wskazania. Zgodnie z opinią KK w dziedzinie onkologii i hematologii dziecięcej: „lek jest bardzo bezpieczny. Daje szansę przeżycia około 50% w postaci ciężkiej.”

Konkurencyjność cenowa

Optymalna profilaktyka VOD nie jest dobrze zdefiniowana i nie ma dowodów na skuteczność stosowania heparyn, defibrotynu, glutaminy, antytrombiny i PGE1, a słabe dowody wskazują na skuteczność stosowania kwasu ursodeoksycholowego, który nie jest drogi i dostępny w Polsce.

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

Zgodnie z opinią Konsultanta Krajowego, populacja docelowa wyniesie 10 pacjentów pediatrycznych. W skrajnych wariantach wydatki płatnika mogą wynieść od [REDACTED] przy zużyciu 80 fiolek/cykl, do [REDACTED] przy zużyciu 150 fiolek/cykl.

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

Optymalna profilaktyka VOD nie jest dobrze zdefiniowana i nie ma dowodów na skuteczność stosowania heparyn, defibrotyny, glutaminy, antytrombiny i PGE1, a słabe dowody wskazują na skuteczność stosowania kwasu ursodeoksycholowego.

Główne argumenty decyzji

Rada uważa, że w ramach RDTL nie powinien być rozważany lek stosowany profilaktycznie, szczególnie poza wskazaniami w ChPL. Defibrotyna ma udowodnioną skuteczność w leczeniu VOD, ale nie w jej profilaktyce.

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 2019 r., poz. 1373 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, nr: OT.422.80.2019, „Defitelio (defibrotyna) we wskazaniu: w profilaktyce choroby zarostowej żył wątroby (VOD) u pacjentów pediatrycznych poddawanych autologicznej transplantacji komórek macierzystych szpiku kostnego w związku z mięśniakiem Ewinga (C49.0)”. Data ukończenia: 10 października 2019 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców (Gentium Srl).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Gentium Srl 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 2016 r., poz. 1764 z późn. zm.) w zw. z art. 11 ust. 4 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2018 r., poz. 419).

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

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Gentium Srl.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 326/2019 z dnia 14 października 2019 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Perjeta (pertuzumab) we wskazaniu: rak piersi HER2+ z przerzutami (ICD-10: C50.8) jako I linia leczenia systemowego

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Perjeta (pertuzumab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, fiołka á 420 mg we wskazaniu: rak piersi HER2+ z przerzutami (ICD-10: C50.8) jako I linia leczenia systemowego.

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Wniosek dotyczy zasadności finansowania ze środków publicznych leku Perjeta (pertuzumab), we wskazaniu: rak piersi HER2+ z przerzutami (ICD-10: C50.8), stosowanego jako I linia leczenia systemowego, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych. Zgodnie z dodatkowymi informacjami ujętymi w zleceniu, wcześniejsze leczenie chorej obejmowało: leczenie operacyjne, antracykliny, taksany oraz trastuzumab w ramach leczenia uzupełniającego. U pacjentki wystąpiła progresja po leczeniu uzupełniającym w czasie krótszym niż 12 miesięcy. Produkt Perjeta w skojarzeniu z trastuzumabem i docetakselem jest obecnie refundowany w ramach I linii leczenia chorych z uogólnionym lub miejscowo zaawansowanym lub nawrotowym rakiem piersi HER2 dodatnim w ramach programu lekowego B.9. „Leczenie raka piersi (ICD-10 C50)”. Jednakże, jednym z kryteriów uniemożliwiających udział w programie jest przebyte leczenie uzupełniające trastuzumabem, jeżeli okres od zakończenia terapii trastuzumabem do nawrotu raka piersi jest krótszy niż 12 miesięcy. Ze względu na powyższe kryterium pacjentka, której dotyczy wniosek nie może być zakwalifikowana do ww. programu lekowego.

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Nie odnaleziono badań dla pertuzumabu w skojarzeniu z trastuzumabem i docetakselem uwzględniających pacjentki z przerzutowym rakiem piersi HER2+, u których doszło do progresji w ciągu < 12 mies. po leczeniu



uzupełniającym w postaci trastuzumabu i leków z grupy antracyklin i taksanów. Jedynie badanie obserwacyjne Gamucci 2019, obejmujące niewielką grupę pacjentek (14/264;5,3%) odpowiadało częściowo charakterystyce podanej w zleceniu MZ, tzn. chore z nawrotem w okresie ≤ 12 mies. względem zakończenia terapii adjuwantowej trastuzumabem. Zdaniem autorów publikacji Gamucci 2019, nie zaobserwowano niższej skuteczności schematu pertuzumab+ trastuzumab+ docetaxel w subpopulacji chorych z progresją w okresie < 12 mies. od końca terapii adjuwantowej trastuzumabem. Należy mieć jednak na uwadze, że obserwacyjny charakter badania i brak szczegółowych kryteriów włączenia i wykluczenia mogą powodować, że analizowane podgrupy różnią się od siebie pod względem parametrów, które mogą mieć wpływ na skuteczność leczenia. Zdaniem Rady, dowody naukowe na skuteczność stosowania schematu pertuzumab+ trastuzumab+ docetaxel w subpopulacji chorych z progresją w okresie < 12 mies. od końca terapii adjuwantowej trastuzumabem są niszadawalające.

Bezpieczeństwo stosowania

Zgodnie z charakterystyką produktu leczniczego najczęstsze działania niepożądane pertuzumabu, to: biegunka, łysienie, nudności, uczucie zmęczenia, neutropenia i wymioty. Spośród działań o nasileniu 3-4 stopnia najczęściej występują neutropenia i gorączka neutropeniczna.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Stosunek korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania leku Perjeta w skojarzeniu z trastuzumabem i docetaksem u dorosłych pacjentów z HER2-pozytywnym rakiem piersi z nieoperacyjnymi przerzutami lub lokalnymi nawrotami, u których nie stosowano wcześniej terapii anty-HER2 lub chemioterapii w leczeniu przerzutów, jest korzystny. Jednak w przypadku stosowania tego leku w okresie krótszym niż 12 mies. od końca terapii adjuwantowej trastuzumabem, stosunek korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania tego leku jest niepewny.

Konkurencyjność cenowa

Według wniosku załączonego do zlecenia MZ koszt dla NFZ refundacji 3 cykli terapii lekiem Perjeta wynosi: [REDACTED]. Perjeta stosowana jest w skojarzeniu z trastuzumabem i docetaxelem. Jednak w przypadku trastuzumabu nie ma możliwości finansowania go w analizowanym wskazaniu na innych zasadach niż w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowej. Rozpatrywane zlecenie MZ nie uwzględniło oceny zasadności refundacji pertuzumabu w skojarzeniu z trastuzumabem a jedynie terapii pertuzumabem. Tym samym nie jest jasne jak zostanie sfinansowana terapia trastuzumabem w ramach terapii trójlekowej.

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

Według opinii eksperta liczba pacjentów, u których można zastosować wnioskowaną technologię lekową w ramach RDTL, w I linii leczenia systemowego, wyniesie około 1000 chorych rocznie. Na podstawie przyjętych założeń koszt finansowania ze środków publicznych pertuzumabu w ramach RDTL u 1000 pacjentów przez 3 cykle wyniesie [REDACTED], uwzględniając cenę ze zlecenia MZ. Przy tej samej cenie pertuzumabu koszt 3 cykli terapii trzylekowej (pertuzumab + trastuzumab + docetaksel) wyniesie [REDACTED].

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

Alternatywami dla terapii pertuzumabem w skojarzeniu z trastuzumabem i docetaksem są: ado-trastuzumab emtansyna, trastuzumab w skojarzeniu z chemioterapią oraz lapatynib w skojarzeniu kapecytabiną. Trastuzumab oraz lapatynib w skojarzeniu kapecytabiną są refundowane w ramach programu lekowego B.9. Ado-trastuzumab emtansyna nie jest terapią refundowaną w Polsce i jest zarejestrowany w leczeniu pacjentów, u których wystąpił nawrót choroby w trakcie lub przed upływem sześciu miesięcy od zakończenia leczenia uzupełniającego. Nie jest on jednak rekomendowany przez wytyczne polskie oraz europejskie w pierwszej linii leczenia zaawansowanego raka piersi, uznano, więc, że nie stanowi on właściwego komparatora dla wnioskowanej interwencji. Zgodnie z powyższym zdecydowano, że alternatywną technologią medyczną dla zastosowania pertuzumabu w skojarzeniu z trastuzumabem i docetaksem w ocenianym wskazaniu jest stosowanie najlepszej terapii wspomagającej

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 2019 r., poz. 1373 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, nr: OT.422.82.2019, „Perjeta (pertuzumab) we wskazaniu: rak piersi HER2+ z przerzutami (ICD-10: C50.8) jako I linia leczenia systemowego”.
Data ukończenia: 9 października 2019 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców (Roche Registration GmbH).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem (Roche Registration GmbH) 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 2016 r., poz. 1764 z późn. zm.) w zw. z art. 11 ust. 4 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2018 r., poz. 419).

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

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Roche Registration GmbH.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 327/2019 z dnia 14 października 2019 roku
w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych,
w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych,
leku Perjeta (pertuzumab) we wskazaniu: rozsiany rak piersi (ICD-10:
C50.9) u pacjentki leczonej wcześniej antracyklinami

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Perjeta (pertuzumab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, fiołka á 420 mg we wskazaniu: rozsiany rak piersi (ICD-10: C50.9) u pacjentki leczonej wcześniej antracyklinami.

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Wniosek dotyczy zasadności finansowania ze środków publicznych leku Perjeta (pertuzumab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, fiołka á 420 mg we wskazaniu: rozsiany rak piersi (ICD-10: C50.9) u pacjentki leczonej wcześniej antracyklinami. W zleceniu nie doprecyzowano statusu HER2, brak jest też informacji o statusie receptorów estrogenowych i progesteronowych. Ze względu na brak rekomendacji do stosowania pertuzumabu w raku piersi HER2- przyjęto, że oceniane wskazanie dotyczy raka HER2+. W omawianej sytuacji istnieje szereg opcji terapeutycznych, które zostały opisane np. w zaleceniach terapeutycznych PTOK i podsumowane w analizie weryfikacyjnej AOTM. Udział chorej w programie lekowym B.9. „Leczenie raka piersi (ICD-10 C50)” w skojarzeniu z trastuzumabem i docetakselem w leczeniu chorych z uogólnionym lub miejscowo zaawansowanym lub nawrotowym rakiem piersi HER2 dodatnim, gdyż jednym z kryteriów wykluczających jest stosowanie w przeszłości z powodu uogólnionego raka piersi chemioterapii lub terapii przeciw-HER2. Należy zaznaczyć, że niekontrolowana progresja choroby w trakcie leczenia zaawansowanego raka piersi prowadzi, w konsekwencji, do uogólnienia choroby, pogorszenia stanu ogólnego pacjenta i śmierci.

Skuteczność kliniczna i praktyczna

W wyniku przeprowadzonego wyszukiwania nie odnaleziono badań dla pertuzumabu w skojarzeniu z trastuzumabem i docetakselem uwzględniających



pacjentki z zaawansowanym rakiem piersi, po wcześniejszym leczeniu antracyklinami. Zdaniem Rady, opis przypadku dotyczący bezpieczeństwa stosowania pertuzumabu u pacjentki z rakiem piersi w stadium IV, po leczeniu epirubicyną i cyklofosfamidem (Inoue 2017) - to niewystarczający dowód naukowy na bezpieczeństwo i skuteczność wnioskowanego leczenia w omawianej sytuacji klinicznej.

Bezpieczeństwo stosowania

Pertuzumab należy do leków wykazujących kardiotoksyczność, co jest szczególnie istotne w przypadku kojarzenia tego leku z antracyklinami, które również wykazują kardiotoksyczność. Sekwencyjne stosowanie produktu Perjeta (w skojarzeniu z trastuzumabem i taksanem) było oceniane po podaniu epirubicyny lub doksorubicyny, wchodzących w skład wielu schematów leczenia opartych na antracyklinach, w badaniach APHINITY i BERENICE, dotyczących leczenia neoadjuwantowego. Częstość niewydolności serca w stopniu 3 i 4 wahała się w przedziale 0.5-1.5%. Według ChPL, częstość występowania oraz rodzaj najczęstszych działań niepożądanych leków różniły się w zależności od tego, czy produkt Perjeta podawano w monoterapii, czy równocześnie z innymi lekami przeciwnowotworowymi. Najczęstszymi działaniami niepożądanymi stopnia 3-4 wg NCI-CTCAE ($\geq 10\%$) były: neutropenia i gorączka neutropeniczna.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

W opinii eksperta krajowego w ocenianej sytuacji klinicznej brak jest możliwości określenia relacji korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania leku Perjeta w ocenianym wskazaniu, ponieważ wniosek dotyczy leczenia nie ocenianego prospektywnie.

Konkurencyjność cenowa

Według wniosku załączonego do zlecenia MZ koszt dla NFZ refundacji 3 cykli terapii lekiem Perjeta wynosi: [REDACTED]. Perjeta stosowana jest w skojarzeniu z trastuzumabem i docetaxelem. Jednak w przypadku trastuzumabu nie ma możliwości finansowania go w analizowanym wskazaniu na innych zasadach niż w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowej. Rozpatrywane zlecenie MZ nie uwzględniało oceny zasadności refundacji pertuzumabu w skojarzeniu z trastuzumabem, a jedynie terapii pertuzumabem. Tym samym, nie jest jasne jak zostanie sfinansowana terapia trastuzumabem w ramach terapii trójlekowej.

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

Populacja chorych mogąca być beneficjentami ratunkowego dostępu do leku Perjeta (pertuzumab) we wskazaniu: rozsiały rak piersi (ICD-10: C50.9) u chorych leczonych wcześniej antracyklinami, jest trudna do oszacowania.

Istnieje duża rozbieżność w ocenie liczebności tej populacji przez krajowego eksperta i analityków AOTMiT. Ze względu na brak dowodów naukowych, pozwalających ocenić skuteczność wnioskowanej terapii, niepewność dotyczy też szacowanego czasu leczenia. Analitycy AOTMiT oszacowali, że koszt 3 cykli terapii trzylekowej (pertuzumab + trastuzumab + docetaksel) dla populacji 1000 chorych wyniósłby ██████████ brutto.

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

Trastuzumab emtazyny nie został przyjęty przez analityków AOTMiT jako komparator, ponieważ jest on zarejestrowany do stosowania po niepowodzeniu terapii innej niż antracykliny. Jako komparator dla wnioskowanej technologii, analitycy AOTMiT przyjęli najlepsze leczenie wspomagające (BSC). Zdaniem Rady, alternatywą dla wnioskowanego leku mogą być, w omawianej sytuacji klinicznej, różne schematy chemioterapii stosowane w leczeniu uogólnionego raka piersi, a przypadku chorych z ekspresją receptorów hormonalnych - również hormonoterapia.

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 2019 r., poz. 1373 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, nr: OT.422.81.2019, „Perjeta (pertuzumab) we wskazaniu: rozsiały rak piersi (ICD-10: C50.9) u pacjentki leczonej wcześniej antracyklinami”.
Data ukończenia: 9 października 2019 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców (Roche Registration GmbH).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem (Roche Registration GmbH) 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 2016 r., poz. 1764 z późn. zm.) w zw. z art. 11 ust. 4 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2018 r., poz. 419).

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

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Roche Registration GmbH.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 328/2019 z dnia 14 października 2019 roku

o projekcie programu „Zapobieganie ciężkim zapaleniom płuc i powikłaniom pogrypowym u osób z chorobami nowotworowymi”
(woj. wielkopolskie)

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Zapobieganie ciężkim zapaleniom płuc i powikłaniom pogrypowym u osób z chorobami nowotworowymi” (woj. wielkopolskie), pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

Cel główny: *zwiększenie świadomości z zakresu profilaktyki chorób zakaźnych oraz zwiększenie poziomu wyszczepialności przeciwko pneumokokom oraz grypie wśród osób z chorobami nowotworowymi.*

Populacja: *osoby powyżej 18 lat, zamieszkałe na terenie województwa wielkopolskiego, leczone z powodu chorób nowotworowych: raka płuca, sutka, trzonu macicy, szyjki macicy, jelita grubego, odbytnicy, pęcherza moczowego oraz przewlekłej białaczki limfocytowej). Nowotwory te zostały wybrane ze względu na istotność epidemiologiczną, kliniczną oraz społeczną, możliwość i efektywność leczenia radykalnego (5-letnie przeżycia) oraz dostępne dane dotyczące efektywności szczepień w tej grupie chorych onkologicznych.*

Czas trwania programu: ok. 3 lat.

Opiniowany projekt programu będzie współfinansowany przez Unię Europejską, w ramach Europejskiego Funduszu Społecznego w perspektywie finansowej 2014-2020.

*Oceniany projekt programu odnosi się do problemu zdrowotnego jakim są zakażenia *Streptococcus pneumoniae* oraz wirusem grypy wśród osób z rozpoznaniem ww. chorób nowotworowych.*

Kryteria włączenia do programu stanowią: wiek (powyżej 18 lat), nowe rozpoznanie nowotworu ze wskazanej grupy, brak rozpoczęcia leczenia radykalnego immunochemioterapią, brak szczepienia przeciwko pneumokokom i/lub grypie w danym sezonie epidemicznym, brak przeciwwskazań lekarskich do wykonania szczepienia, pisemna zgoda na udział w programie. Ogólna liczba uczestników programu - około 4 500 pacjentów (1500 rocznie przez 3 lata).



Opiniowany projekt realizuje następujące priorytety: „zmniejszenie zachorowalności i przedwczesnej umieralności z powodu przewlekłych chorób układu oddechowego” oraz „zwiększenie skuteczności zapobiegania chorobom zakaźnymi zakażeniami, w tym przeciwdziałanie skutkom nieprawidłowej antybiotykoterapii”, należące do priorytetów zdrowotnych wymienionych w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 27 lutego 2018 r. (Dz.U. 2018 poz. 469).

Dowody naukowe oraz rekomendacje kliniczne:

Obecnie istnieją wystarczające dowody, aby rekomendować stosowanie szczepień wśród następujących grup osób z obniżoną odpornością:

chorujących na nowotwory złośliwe (NAC -I National Advisory Committee on Immunization 2016, IDSA - Infectious Diseases Society of America 2013). ACIP - Advisory Committee on Immunization Practices 2012);

Szczepienia przeciwko pneumokokom i grypie są rekomendowane we wczesnym stadium przewlekłej białaczki limfocytowej (ESMO European Society for Medical Oncology 2015, ASCO American Society of Clinical Oncology 2015).

Pacjenci z chorobą nowotworową mogą być bezpiecznie szczepieni szczepionkami inaktywowanymi, w tym przeciwko pneumokokom i grypie. Szczepienia te jednak nie powinny być wykonywane w trakcie chemioterapii wstępnej i konsolidacyjnej, z powodu słabej odpowiedzi poszczepiennej (ACS American Cancer Society 2017, IDSA 2013).

Bardzo istotnym czynnikiem profilaktyki osób z chorobą nowotworową jest ochrona przed narażeniem na zakażenia. Można to osiągnąć między innymi poprzez stosowanie szczepień ochronnych wśród osób z najbliższego otoczenia pacjentów – szczególnie wtedy, gdy sam pacjent, z powodu intensywnej chemioterapii, nie może zostać zaszczepiony (IDSA Infectious Diseases Society of America 2013).

Należy stwierdzić, że zgodnie z PSO (Program Szczepień Ochronnych 2019) szczepienie p/ pneumokokom jest zalecane u osób dorosłych m.in. z białaczką i uogólnioną chorobą nowotworową. Szczepienia p/ grypie zaleca się (zgodnie z przesłankami klinicznymi) u osób ze stanami obniżonej odporności, w tym we wnioskowanych grupach chorych.

Budżet.

Planowane koszty całkowite: 3 337 496 zł.

Program współfinansowany będzie w 85% ze środków Europejskiego Funduszu Społecznego, 10% budżetu państwa i 5% środków własnych beneficjentów.

Program jest unikalny na skalę krajową oraz europejską. Kompleksowe podejście do zagadnień zakażeń w onkologii i leczeniu onkologicznym jest rzadkością w obecnym sposobie postępowania z pacjentami chorymi

na nowotwory. Projekt wpisuje się w trendy leczenia przeciwnowotworowego jakie obowiązują we współczesnym leczeniu onkologicznym (m.in. ASCO American Society of Clinical Oncology , CDC Centers for Disease Control and Prevention)). Jego wdrożenie może znacząco obniżyć koszty leczenia – leczenie powikłań infekcyjnych należy bowiem do najdroższych.

Argumentem przemawiającym za realizacją programu jest niski poziom wyszczepialności populacji krajowej przeciw pneumokokom.

Poprzez prezentowany w programie sposób profilaktyki, który może zapewnić ciągłość leczenia choroby podstawowej, unika się ryzyka wytworzenia chemiooporności nowotworu, która częściej pojawia się przy nieregularnym stosowaniu chemioterapii będącej skutkiem zakażeń. Ponadto, program obejmuje edukację, zarówno chorych, jak również ich rodzin, co dodatkowo może poprawić wyniki leczenia onkologicznego i jakość współpracy pomiędzy chorym a lekarzem, co jest niezbędne dla osiągnięcia dobrych wyników leczenia onkologicznego.

Biorąc pod uwagę istotną wagę problemu zdrowotnego, skutki ekonomiczne braku wczesnej profilaktyki zakażeń pneumokokami i wirusem grypy, wymienione wyżej rekomendacje kliniczne oraz unikalność programu w skali europejskiej, Rada pozytywnie opiniuje projekt programu zdrowotnego.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48a ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 1373 z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr: OT.441.125.2019 „Zapobieganie ciężkim zapaleniom płuc i powikłaniom pogrypowym u osób z chorobami nowotworowymi” realizowany przez: Województwo Wielkopolskie, data ukończenia raportu: październik 2019 oraz Aneksów do raportów szczegółowych: „Programy profilaktycznych szczepień ochronnych przeciwko grypie w wybranych grupach ryzyka – wspólne podstawy oceny” z lipca 2018 r., „Programy profilaktyki zakażeń pneumokokowych – wspólne podstawy oceny”, z marca 2014 r. oraz raportem szczegółowym nr OT.441.136.2017.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 329/2019 z dnia 14 października 2019 roku
o projekcie programu „Program profilaktyki chorób układu krążenia dla mieszkańców powiatu zawierciańskiego w wieku 40+ na lata 2020-2022”

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki chorób układu krążenia dla mieszkańców powiatu zawierciańskiego w wieku 40+ na lata 2020-2022”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

Celem głównym PPZ jest „Zwiększenie wykrywalności chorób układu krążenia i świadomości zdrowotnej w zakresie chorób układu krążenia w populacji mieszkańców powiatu zawierciańskiego w wieku produkcyjnym powyżej 40 lat poprzez kompleksowe działania z zakresu profilaktyki pierwotnej i wtórnej prowadzone w latach 2020-2022”. Okres realizacji programu wyznaczono na lata 2020-2022. Populacja Programu, to mieszkańcy powiatu zawierciańskiego w wieku od 40 lat, z wyłączeniem osób będących w 40, 45, 50, oraz 55 roku życia (dla których ww. program finansuje NFZ) oraz osób, u których już wcześniej zdiagnozowano chorobę układu krążenia. W projekcie PPZ wskazano 5 celów szczegółowych i 6 mierników efektywności umożliwiających pomiar efektywności wdrożonych interwencji. Nadal brak jest miernika do celu głównego. Cel główny natomiast sformułowano w sposób uniemożliwiający pomiar efektywności programu.

Budżet programu określono na poziomie 179 000 zł, finansowanie będzie realizowane ze środków powiatu zawierciańskiego. Powiat będzie ubiegać się także o dofinansowanie części działań realizowanych w programie.

Uwagi Rady:

- 1) Nadal nie wskazano miernika dotyczącego celu głównego, a zaplanowane interwencje nie odnoszą się do celu głównego PPZ.*
- 2) Nie wskazano działań prowadzących bezpośrednio do wykrycia chorób układu krążenia w ramach programu, a jedynie do określenia czy u pacjenta występuje podejrzenie takiej choroby.*



3) Zaplanowane interwencje edukacyjne, po kwalifikacji do drugiego etapu (konsultacja lekarska), nie zostały ukierunkowane na indywidualną pracę z pacjentem. Edukacja pacjenta w CHUK winna dotyczyć ćwiczeń ruchowych, właściwej diety, czy radzenia sobie ze stresem. Jednakże w projekcie nie zaplanowano tychże, jak również nie wskazano profesjonalistów posiadających kompetencje do ich realizacji. Liczba prowadzonych interwencji winna być realizowana zgodnie z indywidualnymi potrzebami, a interwencje prowadzone co najmniej przez jeden miesiąc.

Opiniowany projekt wpisuje się w priorytet: „zmniejszenie zapadalności i przedwczesnej umieralności z powodu chorób układu sercowo-naczyniowego, w tym zawałów serca, niewydolności serca i udarów mózgu” należący do priorytetów zdrowotnych wymienionych w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 27 lutego 2018 r. (Dz.U. z 2018 r., poz. 469).

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48a ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 1373 z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr: OT.441.127.2019 „Program profilaktyki chorób układu krążenia dla mieszkańców powiatu zawierciańskiego w wieku 40+ na lata 2020-2022” realizowany przez: Powiat Zawierciański, data ukończenia raportu: październik 2019 oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy z zakresu profilaktyki chorób sercowo-naczyniowych – wspólne podstawy oceny”, luty 2013 r. oraz Raportem oceny o nr OT.440.8.2017 dot. programu polityki zdrowotnej pn. „Ogólnopolski program profilaktyki w zakresie miażdżycy tętnic i chorób serca poprzez edukację osób z podwyższonymi czynnikami ryzyka sercowo-naczyniowego (KORDIAN)” oraz Raportem oceny o nr OT.441.89.2019.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości nr 330/2019 z dnia 14 października 2019 roku o projekcie programu „Program profilaktyki zakażeń meningokokowych dla mieszkańców miasta Gostynina na lata 2019 - 2022”

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki zakażeń meningokokowych dla mieszkańców miasta Gostynina na lata 2019-2022”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

*Celem głównym PPZ jest zmniejszenie ryzyka zachorowań na choroby wywołane przez meningokoki grupy C. Populacja objęta programem, to dzieci zamieszkałe na terenie Miasta Gostynina w wieku od 12 do 23 m.ż. oraz ich rodzice, do których kierowane są interwencje edukacyjne. Zaplanowane w PPZ interwencje przewidują m.in. szczepienia przeciw *Neisseria meningitidis* grupy C. Okres realizacji programu został wyznaczony na lata 2019-2022.*

W Programie zaplanowano również przeprowadzenie działań promocyjno-informacyjnych, których celem będzie edukacja rodziców w zakresie profilaktyki chorób wywołanych przez meningokoki, poprzez zorganizowanie spotkań edukacyjnych.

Opiniowany projekt wpisuje się w priorytet: „zwiększenie skuteczności zapobiegania chorobom zakaźnym i zakażeniom, w tym przeciwdziałanie skutkom nieprawidłowej antybiotykoterapii”, należący do priorytetów zdrowotnych wymienionych w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dn. 27 lutego 2018 r. (Dz.U. z 2018 r., poz. 469).

Uwagi Rady:

- 1) Wnioskodawca przewidział szczepienia przeciwko meningokokom z grupy C, pomimo, że to meningokoki z grupy B są odpowiedzialne są za ponad 60% zachorowań a szczepionka jest dostępna na rynku;*
- 2) Cel główny programu jest niemierzalny i oddalony w czasie;*
- 3) W projekcie PPZ wskazano także dwa cele szczegółowe i trzy mierniki efektywności, przy czym nie wskazano miernika do celu głównego, który sformułowano w sposób uniemożliwiający pomiar efektywności programu*



(mierniki powinny umożliwiać obiektywną i precyzyjną ocenę stopnia realizacji wyznaczonych celów oraz powinny być istotnym odzwierciedleniem zdarzeń lub faktów występujących w danym programie, wyrażonych w odpowiednich jednostkach miary);

- 4) Miernik zaproponowany do celu drugiego „liczba odbiorców edukacji zdrowotnej”, nie daje gwarancji wzrostu wiedzy rodziców, brak jest bowiem wskazania narzędzi do oceny wzrostu świadomości w tym zakresie. Nie określono również planu edukacji oraz sposobu jej przeprowadzenia i zaangażowania w interwencję profesjonalistów. Wnioskodawca nie zaplanował ewaluacji programu, a jedynie jego monitorowanie. Brak jest także informacji o przygotowaniu protokołu edukacyjnego (przewodnika), na podstawie którego realizowana będzie edukacja. Nie ma więc pewności co do spójności przekazywanych treści przez zaangażowanych w proces profesjonalistów. Skuteczna edukacja powinna być wdrażana przez coacha zdrowia, przeszkolonego z zakresu motywowania do zmiany zachowań, wzmocnienia pozytywnych postaw z wykorzystaniem różnorodnych technik i narzędzi (techniki coachingu zdrowotnego, które zwiększają efektywność edukacji, to m.in.: kontakt bezpośredni, sms, telefony, chat z klientem, rozmowy telefoniczne oraz wspierana przez przeszkolonych profesjonalistów (interprofesjonalny Zespół). Liczba prowadzonych interwencji winna być realizowana zgodnie z indywidualnymi potrzebami, a interwencje prowadzone co najmniej przez jeden miesiąc;*
- 5) Budżet projektu budzi zastrzeżenia, gdyż nie określono kosztów podania szczepienia oraz kwalifikacji do szczepienia. Wskazane we wniosku kwota konsumuje koszt zakupu szczepionki.*

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48a ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 1373 z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr: OT.441.128.2019 „Program profilaktyki zakażeń meningokokowych dla mieszkańców miasta Gostynina na lata 2019-2022” realizowany przez: Miasto Gostynin, data ukończenia raportu: październik 2019 oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy profilaktyki zakażeń meningokokowych – wspólne podstawy oceny” z listopada 2015 r.