



Rada Przejrzystości
działająca przy
Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

BP.401.1.2020.MKZ

Protokół nr 2/2020
z posiedzenia Rady Przejrzystości
w dniu 13 stycznia 2020 roku
w siedzibie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (Agencji)

Piotr Szymański otworzył posiedzenie o godzinie 10:03.

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

1. Anna Cieślik
2. Anna Gręziak
3. Maciej Karaszewski
4. Adam Maciejczyk
5. Rafał Niżankowski
6. Tomasz Pasierski
7. Piotr Szymański – prowadził posiedzenie
8. Janusz Szyndler

Proponowany porządek obrad:

1. Ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Genotropin (somatotropin) w ramach programu lekowego „Leczenie substytucyjne ciężkiego niedoboru hormonu wzrostu pacjentów dorosłych oraz młodzieży po zakończeniu terapii promującej wzrastanie (ICD-10: E23.0)”.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację sprowadzanego z zagranicy w ramach importu docelowego, produktu leczniczego Pedanios (susz z konopi, 22% THC, <1% CBD) we wskazaniu fibromialgia u pacjenta po nieskutecznym leczeniu lekami przeciwdepresyjnymi, przeciwpadaczkowymi, sterydami, lekami przeciwbólowymi w tym opioidami.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację sprowadzanego z zagranicy w ramach importu docelowego, produktu leczniczego Triamhexal (triamcinolone acetonide) we wskazaniach: świerzbieżka guzkowata, bliznowiejące zapalenie mieszków włosowych, bliznowiec, liszaj płaski, łysienie czołowe bliznowiejące, łysienie plackowate, łysienie uogólnione, pemfigoid bliznowaciejący, sarkoidoza skórna, toczeń układowy, trądzik, odwrócony, twardzina ograniczona, zespół Melkerssona-Rosenthala.
5. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację sprowadzanego z zagranicy w ramach importu docelowego, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia



- żywieniowego Ketocal 3:1, Ketocal 4:1, Ketocal 4:1 LQ; Ketocal 4:1 LQ Multi Fibre we wskazaniu: deficyt transportera glukozy GLUT-1.
6. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Mabthera (rituximab) we wskazaniu: guz zapalny oczodołu w przebiegu choroby IgG4- zależnej (ICD-10: H05.1).
 7. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Kymriah (tisagenlecleucel) we wskazaniu: nawrotowy, oporny na leczenie chłoniak rozlany z dużej komórki B (ICD-10: C85.7)..
 8. Przygotowanie opinii w sprawie zalecanych technologii medycznych, działań przeprowadzanych w ramach programów polityki zdrowotnej oraz warunków ich realizacji w „depresji poporodowej” wraz z odniesieniem do modelowego rozwiązania pn. „Profilaktyka i wczesne wykrywanie depresji poporodowej”.
 9. Zakończenie posiedzenia.

Ad 1. Żaden z członków Rady nie zgłosił konfliktu interesów.

Rada jednogłośnie (8 głosów „za”) zatwierdziła porządek obrad.

Ad 2. Analityk Agencji streścił raport w sprawie leku Genotropin (wniosek refundacyjny) we wskazaniu dot. ciężkiego niedoboru hormonu wzrostu.

We wstępnej dyskusji głos zabrali Piotr Szymański i Anna Cieślik.

W dalszej kolejności propozycję stanowiska Rady przedstawiła Anna Cieślik.

W trakcie prezentacji propozycji stanowiska Rady, na posiedzenie przybył Artur Zaczyński, który nie zadeklarował konfliktu interesów.

W dalszej części dyskusji i formułowaniu finalnej wersji stanowiska Rady głos zabrali: Piotr Szymański oraz Anna Cieślik.

W trakcie formułowania stanowiska Rady, na posiedzenie przybył Jakub Pawlikowski, który nie zadeklarował konfliktu interesów.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 1 do protokołu).

Ad 3. Na wstępie głos zabrali: Tomasz Pasierski oraz Anna Cieślik.

Analityk Agencji podsumował informacje z raportu w sprawie produktu leczniczego Pedanios (import docelowy) we wskazaniu dot. fibromialgii, a propozycję stanowiska Rady przedstawił Tomasz Pasierski.

W dyskusji i formułowaniu końcowej wersji stanowiska Rady uczestniczyli: Tomasz Pasierski, Piotr Szymański, Rafał Niżankowski, Anna Cieślik oraz Janusz Szyndler, po czym Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 2 do protokołu).

Ad 4. Analityk Agencji omówił dane z raportu w sprawie produktu leczniczego Triamhexal (import docelowy) we wskazaniach: świerzbieżka guzkowata, bliznowiejące zapalenie mieszków włosowych,

bliznowiec, liszaj płaski, łysienie czołowe bliznowiejące, łysienie plackowate, łysienie uogólnione, pemfigoid bliznowaciejący, sarkoidoza skórna, toczeń układowy, trądzik, odwórcony, twardzina ograniczona, zespół Melkerssona-Rosenthala, a propozycję stanowiska Rady przedstawiła Anna Gręziak.

Wobec braku innych głosów, prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 3 do protokołu).

Ad 5. Analityk Agencji zaprezentował najważniejsze informacje z raportu w sprawie środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego Ketocal 3:1, Ketocal 4:1, Ketocal 4:1 LQ; Ketocal 4:1 LQ Multi Fibre we wskazaniu: deficyt transportera glukozy GLUT-1, a propozycję stanowiska Rady przedstawił Jakub Pawlikowski.

W dyskusji i modyfikacji propozycji stanowiska Rady uczestniczyli Piotr Szymański, Jakub Pawlikowski oraz Anna Cieślik, po czym prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (8 głosów „za”, Rafał Niżankowski i Adam Maciejczyk nie brali udziału w głosowaniu ze względu na chwilową nieobecność na sali) uchwaliła pozytywne stanowisko (bez załącznika).

Ad 6. Analityk Agencji streścił informacje z raportu w sprawie leku Mabthera (RDTL) we wskazaniu: guz zapalny oczodołu, a propozycję opinii przedstawił Artur Zaczyński.

Wobec braku innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 głosów „za”, Rafał Niżankowski nie brał udziału w głosowaniu ze względu na chwilową nieobecność na sali) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 5 do protokołu).

Ad 7. Propozycję opinii Rady w sprawie leku Kymriah (RDTL) we wskazaniu: nawrotowy, oporny na leczenie chłoniak rozlany z dużej komórki B przedstawił Adam Maciejczyk, natomiast analityk Agencji podsumował najważniejsze informacje z raportu.

W ramach dyskusji Adam Maciejczyk, Jakub Pawlikowski, Janusz Szyndler, Piotr Szymański, Artur Zaczyński, Tomasz Pasierski, Rafał Niżankowski, Anna Cieślik oraz Anna Gręziak zmodyfikowali treść zaproponowanej opinii, po czym Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 9 głosami „za”, przy 1 głosie „przeciw” (10 osób obecnych) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 6 do protokołu).

c.d. Ad 5. Decyzją Prowadzącego posiedzenie, w celu modyfikacji treści stanowiska Rady, przeprowadzono reasumpcję głosowania.

Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 4 do protokołu).

Posiedzenie Rady opuścił Jakub Pawlikowski.

Ad 8. Analityk Agencji omówił raport w sprawie zalecanych technologii medycznych, działań przeprowadzanych w ramach programów polityki zdrowotnej oraz warunków ich realizacji w „depresji poporodowej” wraz z odniesieniem do modelowego rozwiązania pn. „Profilaktyka i wczesne wykrywanie depresji poporodowej”.

We wstępnej dyskusji głos zabrali: Artur Zaczyński, Piotr Szymański, Maciej Karaszewski oraz Rafał Niżankowski.

Propozycję opinii Rady przedstawił Maciej Karaszewski.

W trakcie dyskusji posiedzenie Rady opuścił Adam Maciejczyk.

W ramach dyskusji Piotr Szymański, Maciej Karaszewski, Janusz Szyndler, Rafał Niżankowski oraz Anna Gręziak sformułowali końcową wersję opinii Rady, po czym Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 5 głosami „za”, przy 3 głosach „przeciw” (8 osób obecnych) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 7 do protokołu).

Ad 9. Decyzją Prowadzącego posiedzenie, przeprowadzono losowanie składu Zespołu na posiedzenie Rady w dniu 3 lutym 2020 r.

Prowadzący zakończył posiedzenie się o godzinie 13:53.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 1/2020 z dnia 13 stycznia 2020 roku

w sprawie oceny leku Genotropin (somatropinum) w ramach programu lekowego: „Leczenie substytucyjne ciężkiego niedoboru hormonu wzrostu pacjentów dorosłych oraz młodzieży po zakończeniu terapii promującej wzrastanie (ICD-10 E23.0)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktów leczniczych:

- *Genotropin 5,3 (somatropinum), proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 5,3 mg (16 j.m.), 5 jednorazowych, wielodawkowych wstrzykiwaczy GoQuick zawierających wkład z proszkiem i rozpuszczalnikiem po 1 ml, kod EAN 05909990887095,*
- *Genotropin 12 (somatropinum), proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 12 mg (36 j.m.), 5 jednorazowych, wielodawkowych wstrzykiwaczy GoQuick zawierających wkład z proszkiem i rozpuszczalnikiem po 1 ml, kod EAN 05909990887170,*

w programie lekowym: „Leczenie substytucyjne ciężkiego niedoboru hormonu wzrostu pacjentów dorosłych oraz młodzieży po zakończeniu terapii promującej wzrastanie (ICD-10 E23.0)”, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie ich bezpłatnie, pod warunkiem, że koszty związane z refundacją Genotropin nie będą wyższe od kosztów refundacji terapii najtańszym lekiem biologicznym zawierającym somatropinum jako substancję czynną.

Rada Przejrzystości

uważa za właściwe obniżenie ceny leku za 1 mg do poziomu ceny najtańszego leku zawierającego somatropinę jako substancję czynną.

Rada nie zgłasza uwag do proponowanego programu lekowego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Produkt leczniczy Genotropin nie był przedmiotem oceny Agencji, jednak w 2019 roku oceniany był lek Omnitrope, dla którego Genotropin jest lekiem referencyjnym. Stanowisko RP (20/2019) i rekomendacja Prezesa Agencji (17/2019) były pozytywne.



Wnioskodawca zaproponował instrument dzielenia ryzyka oraz finasowanie leku w ramach istniejącej grupy limitowej.

Dowody naukowe

Wyniki badań sugerują pozytywny wpływ stosowania hormonu wzrostu na jakość życia, redukcję poziomu cholesterolu całkowitego i LDL, przy jednoczesnym wzroście frakcji HDL. Terapia hormonem wzrostu (GH) wśród pacjentów z jego niedoborem (GHD) ma znamieny wpływ na redukcję całkowitej masy tkanki tłuszczowej, wzrost beztłuszczowej masy ciała, w porównaniu z populacją pacjentów nieleczonych GH. Można też zaobserwować istotną poprawę w gęstości mineralnej kości po długotrwałej, co najmniej 12 miesięcznej, terapii za pomocą GH. Ryzyko wystąpienia złamań wśród pacjentów leczonych GH obniża się w trakcie terapii do poziomu podobnego do ryzyka złamań w populacji ogólnej. Terapia GH korzystnie wpływa na wydolność mięśniową organizmu pacjentów z GHD poprzez wzrost pułapu tlenowego oraz maksymalnej wydolności organizmu. Niepewne dane obserwacyjne sugerują korzystny wpływ substytucji na ryzyko zgonu.

Problem ekonomiczny

Główne ograniczenia analizy ekonomicznej wynikają z niepewności oszacowania populacji.

Objęcie refundacją ocenianej technologii lekowej będzie związane z

. Zdaniem Rady należy zatem obniżyć cenę leku za 1 mg do poziomu ceny najtańszego leku zawierającego somatropinę jako substancję czynną.

Główne argumenty decyzji

Dostępne dowody naukowe i wyniki analiz farmakoekonomicznych oraz wytyczne krajowe i międzynarodowe potwierdzają, że finansowanie ze środków publicznych ocenianej technologii medycznej jest zasadne. Terapia rhGH w porównaniu do braku leczenia/placebo wykazywała istotne statystycznie różnice na korzyść rhGH w odniesieniu do jakości życia, wzrostu stężenia insulinopodobnego czynnika wzrostu IGF-1 względem wartości początkowych, zmiany składu ciała na podstawie zmiany zawartości tkanki tłuszczowej i pomiaru beztłuszczowej masy ciała oraz wzrostu gęstości mineralnej kości.

Uwaga Rady

Rada uważa, że somatropina powinna być kupowana w ramach istniejących przetargów na somatropinę dla dzieci. Rada uważa, że kwalifikację do programu lekowego powinien wykonywać zespół koordynujący, podobnie jak w programach dla dzieci. Należy zapewnić współpracę ośrodków leczących dzieci i młodzież oraz dorosłych. W przyszłości należy rozważyć opracowanie

jednego programu lekowego dla dzieci i młodzień oraz dorosłych, obejmującego wszystkie analogi somatropiny.

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.4331.61.2019 „Wniosek o objęcie refundacją leku Genotropin (somatropina) we wskazaniu: »Leczenie ciężkiego niedoboru hormonu wzrostu u dorosłych oraz młodzieży po zakończeniu terapii promującej wzrastanie (ICD-10: E23.0)«”. Data ukończenia: 2 stycznia 2019.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem (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: (Pfizer Polska Sp. z o.o.).



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 2/2020 z dnia 13 stycznia 2020 roku

w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Pedanios (susz z konopi, 22% THC, <1% CBD), sprowadzanego z zagranicy w ramach importu docelowego we wskazaniu: fibromialgia u pacjenta po nieskutecznym leczeniu lekami przeciwdepresyjnymi, przeciwpadaczkowymi, sterydami, lekami przeciwbólowymi w tym opioidami

Rada Przejrzystości uważa za niezasadne wydawanie zgód na refundację Pedanios, susz z konopi, 22% THC, <1% CBD, sprowadzanego z zagranicy w ramach importu docelowego, we wskazaniu: fibromialgia u pacjenta po nieskutecznym leczeniu lekami przeciwdepresyjnymi, przeciwpadaczkowymi, sterydami, lekami przeciwbólowymi, w tym opioidami.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Fibromialgia jest trudną do zdefiniowania chorobą reumatyczną dotykającą ok. 2% populacji. Objawami głównymi tej choroby są: przewlekły, uogólniony ból mięśniowo - stawowy oraz bolesność w typowych punktach, zwanych punktami uciskowymi. Towarzyszą im zwykle liczne zaburzenia vegetatywne i funkcjonalne, wśród których najbardziej charakterystycznymi są zaburzenia snu, przewlekłe zmęczenie, nietolerancja wysiłku i objawy psychopatologiczne. W jej leczeniu zalecane są m.in. leki przeciwdepresyjne i przeciwpadaczkowe.

Fibromialgia nie jest wymieniana wśród wskazań do stosowania pochodnych marihuany. Zażywanie konopi nie jest zalecane u pacjentów z predyspozycją do zaburzeń psychicznych.

Dowody naukowe

Brak jest dobrej jakości dowodów naukowych potwierdzających skuteczność kanabinoidów w tym wskazaniu. NICE nie zaleca stosowania pochodnych marihuany w fibromialgii poza kontekstem ewentualnego badania klinicznego.

Problem ekonomiczny

Trudny do oszacowania z uwagi na nieznaną wielkość populacji docelowej.



Główne argumenty decyzji

Proponowana terapia ma charakter eksperymentalny.

Uwagi Rady

Rada zwraca uwagę, że Pedanios nie jest produktem leczniczym, a surowcem farmaceutycznym.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 1373 z późn. zm.), w związku z art. 39 ust. 3 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 784 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności wydawania zgody na refundację, raport nr: OT.4311.19.2019 „Pedanios (susz z konopi, 22% THC, <1% CBD) we wskazaniu: fibromialgia u pacjenta po nieskutecznym leczeniu lekami przeciwdepresyjnymi, przeciwpadaczkowymi, sterydami, lekami przeciwbólowymi w tym opioidami”. Data ukończenia: 8 stycznia 2020 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 3/2020 z dnia 13 stycznia 2020 roku

w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Triamhexal (triamcinolone acetonide), sprowadzanego z zagranicy w ramach importu docelowego, we wskazaniach: świerzbieżka guzkowata, bliznowaciejące zapalenie mieszków włosowych, bliznowiec, liszaj płaski, łysienie czołowe bliznowaciejące, łysienie plackowate, łysienie uogólnione, pemfigoid bliznowaciejący, sarkoidoza skórna, toczeń układowy, trądzik odwrócony, twardzina ograniczona, zespół Melkerssona-Rosenthala

Rada Przejrzystości uważa za zasadne wydawanie zgód na refundację produktu leczniczego Triamhexal (triamcinolone acetonide), roztwór do wstrzykiwań, ampułka, 10 mg /1 ml i 40 mg /1ml, sprowadzanego z zagranicy w ramach importu docelowego, we wskazaniach: świerzbieżka guzkowata, bliznowaciejące zapalenie mieszków włosowych, bliznowiec, liszaj płaski, łysienie czołowe bliznowaciejące, łysienie plackowate, łysienie uogólnione, pemfigoid bliznowaciejący, sarkoidoza skórna, toczeń układowy, trądzik odwrócony, twardzina ograniczona, zespół Melkerssona-Rosenthala.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Wymienione wskazania dotyczą schorzeń tkanki łącznej (najczęściej dermatologicznych), o podłożu zapalnym, autoimmunologicznym, bądź bez ustalonej etiologii, charakteryzujących się powstawaniem w skórze zwłóknień (zgrubień, guzków), którym towarzyszy ból i często przewlekły świąd. Wszystkie te choroby są przewlekłe i nawrotowe, nie ma też skutecznej przyczynowej metody ich leczenia. W leczeniu stosuje się doustnie kortykosteroidy, niesterydowe leki przeciwzapalne (NLPZ), w przypadku zakażeń antybiotyki, leki przeciwmalaryczne, a czasem także leki biologiczne (antagoniści TNF- α). Miejscowe leczenie polega na stosowaniu silnie działających steroidów w opatrunkach okluzyjnych lub na doogniskowych wstrzykiwaniach triamcinolonu.



Dowody naukowe

Odnaleziono rekomendacje kliniczne dotyczące leczenia Triamhexalem bliznowca (amerykańskie AAFP 2009), świerzbiczkę guzkową (niemieckie AWMF 2009), liszaja płaskiego (europejskie EADV, EDF 2018), łysienia (brytyjskie BJD 2012), pemfigoidu (polskie PDSC 2016 oraz brytyjskie BJD 2012), tocznia układowego (europejskie EULAR 2019), trądzika odwróconego (europejskiej JEAD 2015), twardziny ograniczonej (polskie PDS 2019 oraz europejskie EDF 2017). Nie odnaleziono rekomendacji klinicznych dla wskazań: bliznowaciejące zapalenie mieszków włosowych, sarkoidoza skórna, zespół Melkerssona-Rosenthala. W przypadku zespołu Melkerssona-Rosenthala odnaleziono 2 publikacje (opisy przypadków), w których pacjenci pozytywnie odpowiedzieli na leczenie.

Problem ekonomiczny

W latach 2016-2019 zrefundowano łącznie 380 ampułek leku Triamhexal 40 mg/ml oraz 10 mg/ml na łączną kwotę 5 843,7 PLN netto.

Główne argumenty decyzji

Wszystkie wymienione we wniosku wskazania dotyczą chorób przewlekłych, nawrotowych, niemających skutecznej, przyczynowej metody leczenia. Produkt leczniczy Triamhexal nie był wcześniej oceniany przez AOTMiT. Nie posiada on pozwolenia na dopuszczenie do obrotu na terenie Rzeczypospolitej Polskiej. Sprowadzany jest na podstawie zapotrzebowania wystawianego przez szpital albo lekarza prowadzącego leczenie poza szpitalem, potwierdzonego przez konsultanta z danej dziedziny medycyny. W latach 2016 -2019 refundacja dotyczyła prawie wszystkich analizowanych wskazań, z wyjątkiem bliznowaciejącego zapalenia mieszków włosowych i sarkoidozy skórnej.

W 2013 r. ocenie Agencji podlegał, zawierający triamcinolone acetonide, lek Kenalog we wskazaniach: bliznowiec, świerzbiczkę guzkowata i ciężka postać trądzika skupionego/bliznowaciejącego. Zarówno Stanowisko Rady Przejrzystości jak i Rekomendacja Prezesa były pozytywne dla refundacji w ramach wnioskowanych wskazań. W pozytywnym Stanowisku i Rekomendacji powołano się na stanowisko eksperta, w opinii którego „doogniskowe podawanie Kenalogu jest jedną z metod leczenia bliznowców, alternatywnym sposobem leczenia świerzbiczkę guzkowej z występowaniem dużych guzków, niepoddających się innemu leczeniu oraz ważną opcją leczenia w przypadku szpeczących bliznowców potrądzikowych w trądziku bliznowaciejącym.”.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 1373 z późn. zm.), w związku z art. 39 ust. 3 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 784 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności wydawania zgody na refundację, raport nr: OT.4311.16.2019 „Produkt leczniczy Triamhexal (triamcinolone acetonide) we wskazaniach: świerzbieżka guzkowata, bliznowaciejące zapalenie mieszków włosowych, bliznowiec, liszaj płaski, łysienie czołowe bliznowaciejące, łysienie plackowate, łysienie uogólnione, pemfigoid bliznowaciejący, sarkoidoza skórna, toczeń układowy, trądzik odwrócony, twardzina ograniczona, zespół Melkerssona-Rosenthala”. Data ukończenia: 09 styczeń 2020 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 4/2020 z dnia 13 stycznia 2020 roku

w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego Ketocal 3:1, Ketocal 4:1, Ketocal 4:1 LQ, Ketocal 4:1 LQ Multi Fibre sprowadzanych z zagranicy w ramach importu docelowego we wskazaniu: deficyt transportera glukozy GLUT-1

Rada Przejrzystości uważa za zasadne wydawanie zgód na refundację środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego:

- Ketocal 3:1 (proszek 300 g),
- Ketocal 4:1 (proszek 300 g),
- Ketocal 4:1 LQ (płyn 200 ml),
- Ketocal 4:1 LQ Multi Fibre,

sprowadzanych z zagranicy w ramach importu docelowego, we wskazaniu: deficyt transportera glukozy GLUT-1.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Zespół niedoboru transportera glukozy typu 1 (Glut1) to rzadkie genetyczne zaburzenie metaboliczne charakteryzujące się niedoborem proteiny transportującej glukozę przez barierę krew-mózg. Zaburzenie klasyfikowane jest jako encefalopatia padaczkowa, a jego najczęstszym objawem są drgawki (epilepsja), które zazwyczaj pojawiają się w ciągu pierwszych kilku miesięcy życia. Dodatkowo pojawiają się również zaburzenia ruchów ciała, opóźnienia rozwoju fizycznego i intelektualnego. Objawy i ciężkość choroby różnią się między poszczególnymi osobami. Dokładna częstość występowania zespołu niedoboru Glut1 jest nieznana. W Polsce szacuje się, że może obejmować ok. 20 dzieci, z tym, że częstość rozpoznań może wzrastać.

Osoby z zespołem niedoboru Glut1 nie odpowiadają na leczenie tradycyjnymi lekami przeciwpadaczkowymi, ale z sukcesami mogą być leczeni dietą ketogenną. Dieta ketogenna charakteryzuje się wysoką zawartością tłuszczu i niską węglowodanów oraz prawidłową dla wieku zawartością białka. Określa się w niej tzw. proporcję ketogeniczną (4:1, 3:1, 2:1), czyli wagowy stosunek



tłuszczu do łącznej ilości białek i węglowodanów. Różne preparaty Ketocalu są produktem kompletnym pod względem odżywczym o różnej proporcji tłuszczów i węglowodanów. Produkty wykorzystywane w diecie ketogennej nie są refundowane.

Dowody naukowe

Wytyczne kliniczne międzynarodowe i krajowe zalecają dietę ketogenną jako leczenie z wyboru w zespole deficytu transportera glukozy GLUT-1. Wszyscy konsultowani eksperci kliniczni wyrazili pozytywne opinie odnośnie finansowania produktów Ketocal zwracając uwagę na fakt, że dieta ketogenna stanowi leczenie z wyboru. Nie odnaleziono badań naukowych oceniających produkt Ketocal w deficycie transportera GLUT-1.

Produkt Ketocal w różnych proporcjach glikemicznych był już kilkakrotnie oceniany w AOTMiT i otrzymywał pozytywną opinię zarówno Rady Przejrzystości jak i Prezesa AOTMiT.

Problem ekonomiczny

Zgodnie z danymi otrzymanymi od Ministerstwa Zdrowia w okresie styczeń - listopad 2019 roku, we wskazaniu deficyt transportera GLUT-1, zgody na refundację produktu Ketocal 3:1, Ketocal 4:1 oraz Ketocal 4:1 LQ otrzymało odpowiednio 5, 4 i 8 pacjentów, a liczba sprowadzonych puszek wynosiła łącznie odpowiednio: 476, 214, 50 opakowań (po 32 kartoniki). Żaden z pacjentów nie otrzymał w tym okresie preparatu Ketocal 4:1 LQ Multi Fibre.

W okresie styczeń – listopad 2019 r. wydatki związane z refundacją produktów Ketocal w ocenianym wskazaniu z perspektywy NFZ wyniosły ok. 289 tys. PLN, a z perspektywy pacjenta ok. 2 368 PLN (wynika to z opłaty ryczałtowej do opakowania jaką wnosi pacjent). Wydatki na produkty Ketocal stanowiły ok. 80% wszystkich kosztów związanych z importem z zagranicy środków spożywczych specjalnego przeznaczenia we wskazaniu: deficyt GLUT-1.

Główne argumenty decyzji

Leczeni dietą ketogenną, w tym preparatami Ketocal, u których rozpoczęto leczenie w okresie bardzo wczesnym, mogą odnieść istotne korzyści kliniczne objawiające się zmniejszeniem częstości napadów drgawkowych oraz poprawą rozwoju fizycznego i intelektualnego. Postępowanie zalecane jest przez międzynarodowe i krajowe wytyczne praktyki klinicznej. Niewielka liczebność populacji docelowej nie powinna stanowić nadmiernego obciążenia finansowego dla płatnika publicznego.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 1373 z późn. zm.), w związku z art. 39 ust. 3 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 784 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności wydawania zgody na refundację, raport nr: OT.4311.17.2019 „Ketocal 3:1, Ketocal 4:1, Ketocal 4:1 LQ, Ketocal 4:1 LQ Multi Fibre we wskazaniu: deficyt transportera glukozy GLUT-1”. Data ukończenia: 08 styczeń 2020 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 5/2020 z dnia 13 stycznia 2020 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku MabThera (rytuksymab) we wskazaniu: guz zapalny oczodołu w przebiegu choroby IgG4-zależnej (ICD-10: H05.1)

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku MabThera (rytuksymab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, ampułka 500 mg, we wskazaniu: guz zapalny oczodołu w przebiegu choroby IgG4-zależnej (ICD-10: H05.1).

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Choroby Ig4 zależne (IgG4-RD) mogą dotyczyć każdego narządu, jednak najczęściej rozwijają się w trzustce, przewodzie wątrobowo-żółciowym, gruczołach ślinowych, oczodole oraz węzłach chłonnych. Wystąpienie objawów chorobowych wiąże się zwykle z masywnym zajęciem danego narządu.

Częstość występowania nowych przypadków zachorowania na IgG4-RD ocenia się na 2,63–10,2 przypadków na milion osób. Częściej chorują mężczyźni niż kobiety (stosunek 5:1).

Zarówno gruczoły łzowe, jak i tkanki miękkie oczodołu są często zajęte w przebiegu IgG4-zależnych chorób i mogą być ich pierwszym objawem. Histopatologicznie stwierdza się włóknienie wielogniskowe oraz eozynofilowe włóknienie śródnaczyniowe. Zmianom tym towarzyszy jedno- lub dwustronny bezbolesny obrzęk gruczołów łzowych, bez istotnego upośledzenia ostrości wzroku i suchego zapalenia rogówki oraz spojówek (łac. keratoconjunctivitis sicca).

Wniosek dotyczy pacjenta, u którego zastosowano leczenie operacyjne, metotreksat, azatioprynę, cyklosporynę, cyklofosfamid, sterydoterapię (prednizon). Ponadto w dokumentacji wskazano, iż u przedmiotowego pacjenta jedynymi alternatywami są radioterapia lub enukleacja, prowadzące do utraty wzroku.



Skuteczność kliniczna i praktyczna

W podsumowaniu przeglądu systematycznego Detiger 2019 wskazano, że rytuksymab stanowi skuteczną formę leczenia pacjentów z nawrotową postacią ocznych objawów IgG4-RD, co również potwierdza wnioskujący konsultant/ekspert.

Bezpieczeństwo stosowania

Brak jest wyników analiz bezpieczeństwa stosowania leku w omawianym wskazaniu. Najczęstszymi ciężkimi reakcjami niepożądanymi opisanymi w ChPL są m.in.: ciężkie reakcje na wlew, zaburzenia o charakterze krążeniowo - oddechowym, ciężkie reakcje skórne, reaktywacja WZW typu B.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Lek zarejestrowany jest do stosowania w leczeniu: chłoniaków nieziarnicznych, przewlekłej białaczki limfocytowej, reumatoidalnego zapalenia stawów oraz ziarniniakowatości z zapaleniem naczyń i mikroskopowym zapaleniem naczyń oraz pęcherzycy zwykłej. W raportach EMA, stosunek korzyści do ryzyka dla leku MabThera oceniono jako pozytywny [AR EMA 2016/2014/2013/2010]).

Konkurencyjność cenowa

Najtańszy dostępny na rynku rytuksymab.

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

Na podstawie opinii eksperta, ankietowego przez Agencję, liczebność populacji docelowej (tj. liczby pacjentów z ocenianym wskazaniem, która przyjmowałaby RTX przy uwzględnieniu, że jest to sytuacja, w której wyczerpano u danego świadczeniobiorcy wszystkie możliwe do zastosowania w tym wskazaniu dostępne technologie medyczne finansowane ze środków publicznych) oszacowano na 1 pacjenta rocznie. Koszty terapii z należy ocenić jako niewysokie.

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

W rozważanym przypadku nie ma technologii lekowej ani zabiegowej, która mogłaby stanowić alternatywną terapię dla wnioskowanej populacji.

Główne argumenty decyzji

Mając na uwadze indywidualny przypadek, gdzie wykorzystano wszystkie elementy dostępnych terapii, uwzględnienie terapii w najnowszych doniesieniach, Rada uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego rytuksymab (Mabthera), w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowej, we wskazaniu: guz zapalny oczodołu w przebiegu choroby IgG4-zależnej (ICD-10: H05.1).

Uwagi Rady

Rada zwraca uwagę na zasadność podawania najtańszego, dostępnego na rynku, preparatu rytuksymabu.

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.422.116.2019 „MabThera (rytuksymab) we wskazaniu: guz zapalny oczodołu w przebiegu choroby IgG4-zależnej (ICD-10: H05.1) w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych”. Data ukończenia: 8 stycznia 2020 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 6/2020 z dnia 13 stycznia 2020 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Kymriah (tisagenlecleucel) we wskazaniu: nawrotowy, oporny na leczenie chłoniak rozlany z dużej komórki B (ICD-10: C85.7)

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Kymriah (tisagenlecleucel), dyspersja do infuzji, we wskazaniu: nawrotowy, oporny na leczenie chłoniak rozlany z dużej komórki B (ICD-10: C85.7).

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Chłoniaki rozlane z dużych komórek B (DLBCL, ang. diffuse large B-cell lymphoma) to grupa nowotworów układu chłonnego wywodząca się z dojrzałych obwodowych limfocytów B, pochodzących z ośrodków rozmnażania. Według danych pochodzących z Krajowego Rejestru Nowotworów w 2016 r. na chłoniaki nieziarnicze rozlane zachorowało 1435 osób, natomiast rozpoznanie „Inne i nieokreślone postacie chłoniaków nieziarniczych” postawiono 833 osobom.

W badaniu retrospektywnie oceniającym wyniki leczenia pacjentów z opornym na leczenie DLBCL (nie otrzymujących technologii CAR-T) wystąpienie obiektywnej odpowiedzi na leczenie raportowano u 26% pacjentów, przy czym odpowiedź całkowita wystąpiła u 7%. Mediana przeżycia całkowitego wyniosła 6,3 miesiące a tylko 20% pacjentów przeżyło 2-letni okres obserwacji. Zdaniem jednego z ekspertów w populacji pacjentów z nawrotowym, opornym na leczenie DLBCL rokowanie jest złe a mediana przeżycia wynosi 6 miesięcy.

Zgodnie z informacjami zawartymi w zleceniu, u pacjenta, którego dotyczy wniosek stwierdzono nawrotową postać opornego na leczenie rozlanego chłoniaka z dużej komórki B. W procesie leczenia wykorzystano różne schematy chemioterapii (R-CHOP, R-DHAP), radioterapię oraz przeszczep auto-HSCT poprzedzony kondycjonowaniem wg schematu BEAM. Rada nie posiada dostępu do pełnej dokumentacji chorego, zakłada jednak, że wyczerpano wszystkie dostępne, możliwe do zastosowania w tym wskazaniu technologie medyczne finansowane ze środków publicznych.



Skuteczność kliniczna i praktyczna

Kymriah jest immunologiczną terapią komórkową zawierającą tisagenlecleucel, autologiczne limfocyty T, zmodyfikowane genetycznie w warunkach ex vivo, przy użyciu wektora lentiwirusowego kodującego chimeryczny receptor antygenowy anty-CD19 (ang. chimeric antygen receptor, CAR).

Wyniki badań dotyczące skuteczności klinicznej terapii wskazują na wydłużenie mediany przeżycia całkowitego oraz zwiększenie odsetka odpowiedzi na leczenie, są jednak wyniki średnioterminowe dostępne w postaci doniesień abstraktowych. Wytyczne NCCN 2019 nie wykluczają możliwości zastosowania na tym etapie innego schematu chemioterapii.

Bezpieczeństwo stosowania

W badaniu rejestracyjnym zdarzenia niepożądane wystąpiły u wszystkich poddanych analizie pacjentów. Najczęstszymi zdarzeniami niepożądanymi jakiegokolwiek stopnia był zespół uwalniania cytokin, który wystąpił u 58% pacjentów, anemia (48%), gorączka (35%), obniżona liczba neutrofilii (34%), obniżona liczba płytek (33%), biegunka (32%). W badaniu rejestracyjnym nie odnotowano jednak zgonów związanych z zastosowaniem leku.

W rejestrze realnej praktyki klinicznej (rejestr Cellular Therapy) zespół uwalniania cytokin wystąpił u 53% pacjentów, a neurotoksyczność u 18% pacjentów z DLBCL. W analizowanym okresie nie wystąpił żaden zgon spowodowany ww. zdarzeniami niepożądanymi.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Wskazanie rejestracyjne dla produktu leczniczego Kymriah jest zgodne ze wskazaniem określonym w zleceniu Ministerstwa Zdrowia tj.: DLBCL po dwóch lub większej liczbie linii leczenia systemowego u osób dorosłych. Stosunek korzyści do ryzyka stosowania produktu Kymriah w tym wskazaniu uznano za pozytywny.

Konkurencyjność cenowa

Produkt leczniczy Kymriah nie jest refundowany ze środków publicznych i nie podlegał dotychczas ocenie Agencji. Koszt terapii produktem Kymriah podany w zleceniu jest skrajnie wysoki i zbliżony do kosztu komparatora. Koszty stosowania leków wg rekomendacji SMC oraz G-BA wynoszą odpowiednio: ok. 1,60 mln i 1,54 mln dla leku Kymriah i ok. 1,59 mln PLN oraz 1,58 mln PLN dla leku Yescarta. W ocenie analizy kosztów występuje szereg ograniczeń - przede wszystkim nie określono, jakie procedury związane z wytworzeniem produktu Kymriah wchodzi w skład proponowanej ceny. Bezpośrednie porównanie kosztów produktu Kymriah, oszacowanych w oparciu o dane ze zlecenia, z oszacowaniem kosztów produktu Yescarta, bazującym na danych z dokumentacji refundacyjnej innych krajów, obarczone jest niepewnością.

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

Roczny koszt terapii produktem Kymriah (1 podanie) dla 50 pacjentów (liczebność populacji docelowej szacowana przez ekspertów klinicznych) jest bardzo wysoki. Koszt terapii produktem Yescarta, na podstawie danych wskazanych w dokumentach refundacyjnych z innych krajów europejskich, wyniósłby 79,40 mln PLN (Szkocja) oraz 78,93 mln PLN (Niemcy). Wątpliwości Rady budzi brak możliwości dokładnego oszacowania liczby pacjentów, kwalifikują się do analizowanej formy terapii. Przytaczane szacunki obarczone są bardzo dużą niepewnością.

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

W analizowanym wskazaniu zarejestrowana jest inna terapia z wykorzystaniem zmodyfikowanych limfocytów T pacjenta, mogąca stanowić komparator dla tisagenlecleucelu.

Główne argumenty decyzji

Głównym argumentem przemawiającym za zasadnością finansowania, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Kymriah (tisagenlecleucel), w DLBCL byłaby udowodniona skuteczność interwencji. Brak jest jednak dowodów na skuteczność i bezpieczeństwo średnioterminowe leku Kymriah, przedstawionych w publikacjach pełnotekstowych. Koszt terapii jest skrajnie wysoki, a jego składowe są nieprzejrzyste. Wytyczne nie wykluczają możliwości zastosowania na tym etapie innego schematu chemioterapii.

Uwagi Rady

Ocena technologii w ramach dostępu ratunkowego nie obejmuje analizy efektywności kosztowej interwencji. Wątpliwości Rady budzi podejmowanie decyzji o zasadności finansowania tej terapii ze środków publicznych w sytuacji dużej niepewności co do rzeczywistych kosztów jej stosowania oraz potencjalnie bardzo wysokiego obciążenia płatnika publicznego. Zgodnie z ChPL, terapia powinna być prowadzona wyłącznie w certyfikowanych ośrodkach.

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.422.114.2019 „Kymriah (tisagenlecleucel) we wskazaniu: nawrotowy, oporny na leczenie chłoniak rozlany z dużej komórki B (ICD-10: C85.7)”. Data ukończenia: 9 stycznia 2020 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 7/2020 z dnia 13 stycznia 2020 roku
w sprawie zalecanych technologii medycznych, działań
przeprowadzanych w ramach programów polityki zdrowotnej
oraz warunków ich realizacji dla problemu zdrowotnego: depresja
poporodowa

Rada Przejrzystości opiniuje negatywnie przedstawiony projekt modelowego rozwiązania dla programu polityki zdrowotnej „Profilaktyka depresji poporodowej”.

Uzasadnienie

Profilaktyka depresji poporodowej znajduje się obecnie w standardzie opieki poporodowej i nie ma uzasadnienia dla prowadzenia powielających ten standard działań w ramach programów polityki zdrowotnej.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48aa ust. 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 1373), z uwzględnieniem raportu w sprawie zalecanych technologii medycznych, działań przeprowadzanych w ramach programów polityki zdrowotnej oraz warunków realizacji tych programów nr: OT.423.7.2018 08.01.2020 „Profilaktyka i wczesne wykrywanie depresji poporodowej”, Warszawa, styczeń 2020.

