



BP.401.15.2022.LAn

Protokół nr 13/2022
z posiedzenia Rady Przejrzystości
w dniu 4 kwietnia 2022 roku
w formie wideokonferencji

Rafał Niżankowski otworzył posiedzenie o godzinie 10:04.

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

1. Barbara Jaworska-Łuczak
2. Maciej Karaszewski
3. Dorota Kilańska
4. Tomasz Młynarski
5. Rafał Niżankowski
6. Tomasz Pasierski
7. Jakub Pawlikowski
8. Tomasz Romańczyk
9. Rafał Suwiński
10. Monika Urbaniak

Proponowany porządek obrad:

1. Ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Buccolam (midazolamum) we wskazaniu: leczenie przedłużonych, ostrych napadów drgawkowych u niemowląt, małych dzieci, dzieci i młodzieży (od 3 miesięcy do 18 lat).
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Jorveza (budesonidum) we wskazaniu: leczenie eozynofilowego zapalenia przełyku.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Tecentriq (atezolizumabum) w ramach programu lekowego: „Leczenie raka piersi atezolizumabem (ICD-10: C50)”.
5. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego Corgard (nadolol) we wskazaniach: zespół wydłużonego QT, polimorficzny częstoskurcz komorowy, nadciśnienie tętnicze, komorowe zaburzenia rytmu serca, zespół Andersen-Tawila.
6. Przygotowanie opinii w sprawie zmian w programie lekowym: B.75 „Leczenie aktywnej postaci ziarniniakowatości z zapaleniem naczyń (GPA) lub mikroskopowego zapalenia naczyń (MPA) (ICD-10 M31.3, M31.8)”.



7. Przygotowanie opinii o projektach programów polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego:

- 1) „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej gminy Lubiszyn na lata 2022-2026”,
- 2) „Leczenie niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego – in vitro dla mieszkańców Pyskowic w latach 2022-2025”.

8. Zakończenie posiedzenia.

Ad 1. Tomasz Romańczyk zgłosił konflikt interesów w zakresie pkt. 5. i 6. proponowanego porządku obrad, w związku z czym podczas głosowania nad ww. punktami jego głos liczony będzie jako wstrzymujący. Żaden z pozostałych członków Rady nie zadeklarował konfliktu interesów.

Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) przyjęła proponowany porządek obrad.

Ad 2. Analitik Agencji przedstawił prezentację dot. leku Buccolam (wniosek refundacyjny) we wskazaniu dot. napadów drgawkowych u dzieci.

Rada wysłuchała stanowiska dopuszczonego do udziału w posiedzeniu przedstawiciela pacjentów.

Propozycję stanowiska Rady przedstawił Maciej Karaszewski, a w dyskusji Rady udział brali: Tomasz Romańczyk, Rafał Niżankowski i Maciej Karaszewski.

Po doprecyzowaniu treści uchwały, w czym uczestniczyli: Maciej Karaszewski i Rafał Niżankowski, po czym Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 9 głosami „za” (10 osób obecnych; Rafał Suwiński nie brał udziału w głosowaniu, z uwagi na chwilową nieobecność na posiedzeniu) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 1 do protokołu).

Ad 3. Analitik Agencji omówił wniosek dot. leku Jorveza (wniosek refundacyjny) we wskazaniu: leczenie eozynofilowego zapalenia przełyku. Głos zabrali Tomasz Romańczyk i Rafał Suwiński, a propozycję stanowiska Rady przedstawił Tomasz Romańczyk.

W dyskusji Rady uczestniczyli: Rafał Suwiński, Rafał Niżankowski i Tomasz Romańczyk, po czym Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 2 do protokołu).

Ad 4. Propozycję stanowiska dot. leku Tecentriq (wniosek refundacyjny) stosowanego w leczeniu raka piersi przedstawił Rafał Suwiński. Głos zabrali: Tomasz Pasierski, Rafał Suwiński i Rafał Niżankowski.

Po doprecyzowaniu treści uchwały, w czym uczestniczyli: Rafał Suwiński, Rafał Niżankowski i Tomasz Pasierski, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 3 do protokołu).

Ad 5. Analitik Agencji podsumował informacje dot. leku Corgard (import docelowy) we wskazaniach: zespół wydłużonego QT, polimorficzny częstoskurcz komorowy, nadciśnienie tętnicze, komorowe zaburzenia rytmu serca, zespół Andersen-Tawila, a propozycję stanowiska Rady przedstawiła Monika Urbaniak.

Po doprecyzowaniu treści uchwały, w czym uczestniczyli: Rafał Niżankowski, Tomasz Pasierski i Monika Urbaniak, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 9 głosami „za”, przy 1 głosie wstrzymującym, z uwagi na konflikt interesów (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 4 do protokołu).

Ad 6. Analitik Agencji omówił proponowane zmiany w programie lekowym B.75 dot. leczenia ziarniniakowatości z zapaleniem naczyń lub mikroskopowego zapalenia naczyń, a propozycję opinii Rady przedstawił Tomasz Pasierski.

Wobec braku głosów w dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 9 głosami „za”, przy 1 głosie wstrzymującym, z uwagi na konflikt interesów (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 5 do protokołu).

Ad 7. 1) Analityk Agencji zaprezentował założenia programu polityki zdrowotnej gm. Lubiszyn w zakresie rehabilitacji leczniczej, a propozycję opinii Rady przedstawiła Dorota Kilańska.

Głos zabrali Rafał Niżankowski i Dorota Kilańska, a następnie Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 6 do protokołu).

2) Analityk Agencji przedstawił informacje o programie polityki zdrowotnej Pyskowic dot. leczenia niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego. Głos zabrali: Monika Urbaniak, Rafał Niżankowski i Jakub Pawlikowski, a propozycję opinii Rady przedstawił Jakub Pawlikowski.

Wobec braku głosów w dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 9 głosami „za”, przy 1 głosie „przeciw” (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 7 do protokołu).

Ad 12. Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 12:01.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 27/2022 z dnia 4 kwietnia 2022 roku

w sprawie oceny leku Buccolam (midazolamum) we wskazaniu:
leczenie przedłużonych, ostrych napadów drgawkowych u niemowląt,
małych dzieci, dzieci i młodzieży (od 3 miesięcy do 18 lat)

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktów leczniczych:

- *Buccolam (midazolamum), roztwór do stosowania w jamie ustnej, 2,5 mg/0,5 ml, 4, amp.-strzyk. 0,5 ml, kod GTIN: 05909991449568;*
- *Buccolam (midazolam), roztwór do stosowania w jamie ustnej, 5 mg/ml, 4, amp.-strzyk. 1 ml, kod GTIN: 05909991449575;*
- *Buccolam (midazolamum), roztwór do stosowania w jamie ustnej, 7,5 mg/1,5 ml, 4, amp.-strzyk. 1,5 ml, kod GTIN: 05909991449582;*
- *Buccolam (midazolamum), roztwór do stosowania w jamie ustnej, 10 mg/2 ml, 4, amp.-strzyk. 2 ml, kod GTIN: 05909991449599,*

we wskazaniu: leczenie przedłużonych, ostrych napadów drgawkowych u dzieci z rozpoznaną padaczką w wieku od 6 miesięcy do 18 roku życia, w ramach nowej grupy limitowej i wydawanie ich za odpłatnością ryczałtową.

Rada Przejrzystości uważa iż

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Padaczka jest jednym z najczęstszych zaburzeń neurologicznych, które dotyka 1% populacji. Występuje u ok. 0,5% populacji dzieci i młodzieży, a u ok. 3% dzieci chorych na padaczkę obserwuje się stany padaczkowe, czasem jako pierwszą manifestację choroby. U około 30% przypadków pierwszy napad występuje do 4 roku życia, w ok. 50% – do 11 roku życia, w 70% – do 14 r. ż., i w ok. 80% – do 20 r. ż. Około 5% dzieci prawdopodobnie doświadczy w przeciągu swojego życia jednego napadu drgawek uogólnionych. 16-38% populacji pacjentów pediatrycznych doświadczających stanów padaczkowych, ma zdiagnozowaną padaczkę.



Padaczka to choroba o charakterze nawrotowym, będąca wynikiem patologicznych (nadmiernych i gwałtownych) wyładowań neuronów mózgowych, charakteryzujące się nawracającymi napadami. Padaczka nie jest pojedynczą chorobą, lecz objawem będącym wynikiem różnych zaburzeń.

Przebieg napadów padaczkowych jest bardzo różnorodny – od niewielkich zaburzeń świadomości po zaburzenia motoryczne, sensoryczne, wegetatywne i psychiczne, uzależnione od struktur mózgu, w których doszło do zakłócenia sygnałów elektrycznych.

Zarejestrowane wskazania do stosowania leku Buccolam: leczenie przedłużonych, ostrych napadów drgawkowych u niemowląt, małych dzieci, dzieci i młodzieży (od 3 miesięcy do 18 lat). Produkt Buccolam mogą podawać rodzice/opiekunowie pacjentom, u których rozpoznano padaczkę. U niemowląt w wieku 3-6 miesięcy leczenie powinno być prowadzone w szpitalu, gdzie możliwe jest monitorowanie stanu pacjenta oraz dostępny jest sprzęt do resuscytacji.

Produkt leczniczy Buccolam należy podawać na śluzówkę jamy ustnej. Opiekunowie mogą podać jedynie pojedynczą dawkę midazolamu.

Aktualnie w Polsce w podobnym wskazaniu refundowany jest produkt leczniczy Relsed (diazepam) we wlewkach doodbytniczych.

Dowody naukowe

W przypadku zastosowaniu midazolamu podpoliczkowo i diazepamem doodbytniczo (badanie McIntyre 2005) w obu wariantach analizy (wszystkie epizody drgawkowe i pierwsze epizody drgawkowe) wskazują na:

- IS większą częstość występowania odpowiedzi na leczenie, zdefiniowanej jako ustanie aktywności napadowej w ciągu 10 minut od podania leku bez wystąpienia depresji oddechowej i bez kolejnych drgawek w ciągu 1 godziny w przypadku zastosowaniu midazolamu,*
- IS większe w grupie midazolamu odsetki chorych, u których doszło do zatrzymania napadu drgawkowego w ciągu 10 minut,*
- IS mniejsze w grupie midazolamu odsetki chorych, u których podano lorazepam dożylnie w przypadku nieustąpienia napadu drgawkowego w ciągu 10 minut,*
- IS mniejszą częstość występowania kolejnych drgawek po ustaniu napadu drgawkowego w przypadku zastosowaniu midazolamu,*
- IS krótszy czas do ustania napadu drgawkowego po podaniu midazolamu w porównaniu z diazepamem w obu wariantach analizy (wszystkie epizody drgawkowe i pierwsze epizody drgawkowe).*

Analiza bezpieczeństwa wykazała porównywalną częstość występowania depresji oddechowej po podaniu midazolamu i diazepamem w przypadku wystąpienia napadu drgawkowego.

W opracowaniach wtórnych (Appleton 2008, Brigo 2015a, Brigo 2015b, Haut 2016, Jain 2016) wykazano ogólnie większą skuteczność w przerywaniu napadów drgawkowych po podaniu midazolamu podawanego dopoliczkowo niż diazepamem we wlewkach doodbytniczych.

Wnioskowana technologia – midazolam podawany dopoliczkowo – jest wskazywana w dostępnych wytycznych klinicznych (PTE 2018, NICE 2021, CPS 2021, AES 2016, Lee 2011) jako preferowana opcja leczenia napadów padaczkowych, trwających dłużej niż 5 min, lecz nie dłużej niż 20-30 minut, przed przybyciem do szpitala, w warunkach domowych, jako pierwsza linia leczenia, jeśli nie jest możliwe podanie leków w formie domięśniowej lub dożylniej. Na równi z midazolamem (buccalis) wymieniane są inne benzodiazepiny – diazepam czy lorazepam. Jednakże w wytycznych zaznacza się, że midazolam w formie dopoliczkowej ma przewagę nad diazapamem podawanym p.r.

W pozytywnych rekomendacjach refundacyjnych (AWMSG 2012 (Walia), HAS 2012 (Francja), SMC 2012 (Szkocja)), wskazywano na skuteczność wnioskowanej technologii i efektywność ekonomiczną.

Problem ekonomiczny



Główne argumenty decyzji

- 1. Badania naukowe wykazały istotnie statystycznie przewagę nad komparatorem, przy porównywalnym bezpieczeństwie stosowania.*
- 2. Wytyczne kliniczne zalecają stosowanie midazolamu w postaci dopoliczkowej we wnioskowanej grupie docelowej.*
- 3. Technologia jest technologią [redacted] w stosunku do komparatora.*

4. *Midazolam w postaci dopoliczkowej u dzieci w wieku do 3 miesięcy do 6 miesiąca życia może być stosowany wyłącznie w szpitalu, w związku z powyższym Rada opowiada się przeciwko objęciu w tej grupie wiekowej refundacją apteczną.*

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 523), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 1285 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OT.4230.1.2022 „Wniosek o objęcie refundacją leku Buccolam (midazolam) we wskazaniu: leczenie przedłużonych, ostrych napadów drgawkowych u dzieci”, data ukończenia: 23.03.2022 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia przedstawiciela pacjentów przedstawiona w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Neuraxpharm 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: Neuraxpharm Polska Sp. z o.o.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 28/2022 z dnia 4 kwietnia 2022 roku
w sprawie oceny leku Jorveza (budesonidum) we wskazaniu: leczenie
eozynofilowego zapalenia przełyku

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktów leczniczych:

- *Jorveza (budesonidum), tabletki ulegające rozpadowi w jamie ustnej, 1 mg, 90, tabl., kod GTIN: 04032717994439,*
- *Jorveza (budesonidum), tabletki ulegające rozpadowi w jamie ustnej, 0,5 mg, 90, tabl., kod GTIN: 04032717994446,*

we wskazaniu: leczenie eozynofilowego zapalenia przełyku, w ramach nowej grupy limitowej i wydawanie ich za odpłatnością ryczałtową.

Rada zgłasza następujące uwagi:

- *Koniecznym warunkiem wdrożenia leczenia jest udokumentowane wykonanie badania endoskopowego przełyku i pobrania do oceny histologicznej co najmniej 6 wycinków błony śluzowej zarówno z proksymalnej, jak i dystalnej części przełyku oraz potwierdzenie w tym badaniu rozpoznania EoE (tj obecność co najmniej 15 eozynofili w polu widzenia przy dużym powiększeniu).*
- *Kontynuacja leczenia Jorveza (budezonid) po okresie indukcji wymaga potwierdzenia klinicznego ustąpienia objawów choroby po przyjęciu leczenia indukcyjnego budezonidem.*

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Eozynofilowe zapalenie przełyku (EoE) jest przewlekłą chorobą związaną z odpowiedzią immunologiczną przełyku, której towarzyszą zmiany histologiczne ściany przełyku z miejscowym naciekiem zapalnym, z dominacją eozynofili oraz różnorodne, zależne od wieku i czasu trwania zapalenia, objawy kliniczne spowodowane dysfunkcją przełyku. Nielezione eozynofilowe zapalenie przełyku może powodować przebudowę ściany przełyku, zwłóknienie, zwężenie i zaburzenie połykania.



Eozynofilowe zapalenie przełyku jest schorzeniem zaliczanym do chorób rzadkich. zachorowalność na EoE wynosi od 3 do 13 nowych zachorowań na 100 000 mieszkańców/rok w Europie, USA i Kanadzie. Natomiast chorobowość waha się pomiędzy 40-56 przypadków na 100 000 mieszkańców w Europie i USA.

U pacjentów z podejrzeniem EoE wskazane jest pobranie w czasie badania endoskopowego do oceny histologicznej co najmniej 6 wycinków błony śluzowej z różnych części przełyku zarówno z proksymalnej, jak i dystalnej, zwłaszcza w obrębie zmian endoskopowych. Zgodnie z przyjętym konsensusem do rozpoznania EoE niezbędna jest obecność co najmniej 15 eozynofili w polu widzenia przy dużym powiększeniu.

Zgodnie z obwieszczeniem Ministra Zdrowia z dnia 21 lutego 2022 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. Urz. Min. Zdrowia z 2022 r. poz. 18), w leczeniu eozynofilowego zapalenia przełyku nie są refundowane żadne produkty lecznicze.

Dowody naukowe

Jako komparator dla wnioskowanej terapii wskazano najlepsze leczenie wspomagające (BSC), które obecnie w Polsce sprowadza się do postępowania dietetycznego oraz stosowania poza zarejestrowanym wskazaniem inhibitorów pompy protonowej.

Nieuwzględnienie jako komparatorów miejscowych kortykosteroidów w postaci płynnej lub wziewnej wynika z faktu, iż ich stosowanie kortykosteroidów we wskazaniach pozarejestacyjnych było dopuszczalne przed wprowadzeniem do obrotu ocenianego leku.

Do oceny leku włączono dwa badania RCT bezpośrednio porównujące stosowanie budezonidu (BUD) w postaci tabletek ulegających rozpadowi w jamie ustnej z placebo : EOS -1 (indukcja remisji) i EOS-2 (publikacja Straumann 2020) – dotyczące podtrzymania remisji.

Po 6 tyg. terapii w grupie stosującej BUD w porównaniu do placebo wykazano IS wyższy odsetek pacjentów, u których uzyskano remisję kliniczno-histologiczną - 57,6% (oraz 84,7% po dodatkowych 6 tyg. terapii) vs. 0%. Odsetek pacjentów utrzymujących remisję kliniczno-histologiczną po 48 tyg. wyniósł odpowiednio 73,5% i 75% w grupie BUD w zależności od przyjętego dawkowania (1 mg x 2/dobę i 0,5 mg x 2/dobę).

Po 6 tyg. indukcji remisji oraz po 48 tyg. terapii podtrzymującej remisję zarówno przy zastosowanej dawce BUD 1 mg x 2/dobę, jak i 0,5 mg x 2/dobę, w porównaniu do placebo, wykazano IS wyższy odsetek pacjentów, u których wystąpiła remisja histologiczna, głęboka remisja histologiczna, brak objawów

endoskopowych EoE, remisja kliniczna oraz całkowite ustąpienie objawów ocenione przez pacjenta.

Po 48 tyg. terapii podtrzymującej remisję nawrót histologiczny odnotowano odpowiednio u 10,3% i 13,2% pacjentów stosujących BUD w zależności od dawki, w porównaniu do 89,7% pacjentów stosujących placebo. Natomiast nawrót kliniczny stwierdzono odpowiednio u 7,4% i 10,3% pacjentów stosujących BUD w zależności od dawki oraz u 60,3 % pacjentów stosujących placebo.

Również wyniki w opracowaniach wtórnych (np.: publikacja Rokkas 2021) wskazują, że terapia BUD (1 mg x 2/dobę) wiąże się z IS większą skuteczność (ang. relative treatment effects), niż terapia flutykazonem, a także budezonidem w postaci zawiesiny doustnej. Zgodnie z rankingiem SUCRA terapia BUD w dawce 1 mg x 2/dobę, wiąże się z najwyższą skuteczność (SUCRA=0,91) spośród ocenianych interwencji.

AGA w wytycznych z 2020 roku jak i wcześniejsze z UEG z 2017 u pacjentów z eozynofilowym zapaleniem przełyku zalecają inhibitory pompy protonowej oraz miejscowe kortykosteroidy (ang. topical corticosteroids).

Problem ekonomiczny



Główne argumenty decyzji

1. Proponowany lek realizuje niezaspokojoną potrzebę zdrowotną wobec braku aktywnego komparatora.
2. Lek jest skuteczny w ocenie klinicznej i histologicznej w badaniach pierwotnych, jak również w badaniach wtórnych (większa skuteczność niż terapia flutykazonem, a także budezonidem w postaci zawiesiny doustnej). Zgodnie z rankingiem SUCRA terapia BUD w dawce 1 mg x 2/dobę, wiąże się z najwyższą skuteczność (SUCRA=0,91) spośród ocenianych interwencji.



4. *Koniecznym warunkiem wdrożenia leczenia jest udokumentowanie w ocenie histologicznej co najmniej 15 eozynofili w polu widzenia przy dużym powiększeniu.*

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 523), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 1285 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OT.4230.2.2022 „Wniosek o objęcie refundacją leku Jorveza (budezonid) we wskazaniu: leczenie eozynofilowego zapalenia przetyku”, data ukończenia: 17 marca 2022 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Dr. Falk Pharma GmbH).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Dr. Falk Pharma 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: Dr. Falk Pharma GmbH.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 29/2022 z dnia 4 kwietnia 2022 roku
w sprawie oceny leku Tecentriq (atezolizumabum) w ramach
programu lekowego: „Leczenie raka piersi atezolizumabem
(ICD-10: C50)”

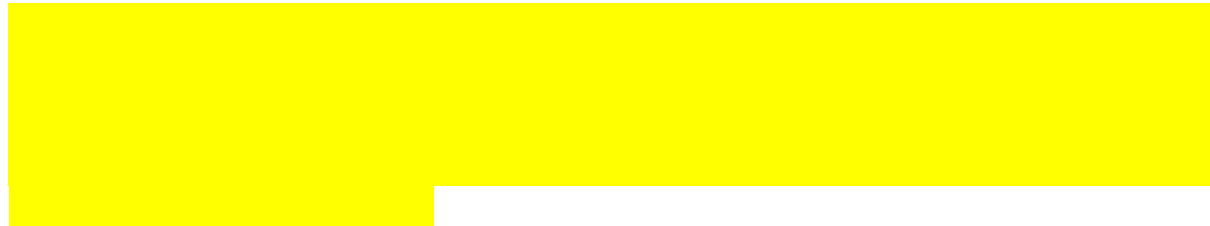
Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Tecentriq (atezolizumabum), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 840 mg, 1, fiol. 14 ml, EAN 07613326025546, w ramach programu lekowego: „Leczenie raka piersi atezolizumabem (ICD-10: C50)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Minister Zdrowia zlecił przygotowanie analizy weryfikacyjnej AOTMiT, stanowiska Rady Przejrzystości oraz rekomendacji Prezesa AOTMiT na zasadzie art. 35 ust. 1 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia oraz wyrobów medycznych w przedmiocie objęcia refundacją produktu leczniczego: Tecentriq (atezolizumab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 840 mg, 1, fiol. 14 ml, EAN 07613326025546 w ramach programu lekowego „Leczenie raka piersi atezolizumabem (ICD-10 C50)”.

Zgodnie z zapisami proponowanego programu lekowego produkt leczniczy



Dowody naukowe

Wnioskodawca przedstawił wyniki randomizowanego badania III fazy IMpassion130 mającego na celu ocenę efektywności klinicznej atezolizumabu podawanego w skojarzeniu z nab-paklitakselem, w pierwszej linii leczenia nieoperacyjnego, miejscowo zaawansowanego lub rozlanego potrójnie ujemnego raka piersi. W badaniu tym atezolizumab z nab-paklitakselem był porównywany z nab-paklitakselem plus placebo. Mediana OS w grupie badanej wyniosła 21,0 mies., natomiast w grupie kontrolnej 18,7 mies., różnica nie była



znamienna statystycznie. W podgrupie chorych z PD-L1 (+) wykazano jednak istotnie statystycznie dłuższe przeżycie w grupie badanej w porównaniu do grupy kontrolnej (mediana 25,4 mies. vs. 17,9 mies.). Różnice w zakresie mediany czasu do progresji były istotne statystycznie na korzyść grupy otrzymującej atezolizumab z nab-paklitakselem, w subpopulacji PD-L1 (+) różnica wyniosła 2,2 miesiąca (7,5 mies. vs. 5,3 mies.). Nie odnotowano istotnych statystycznie różnic pomiędzy badanymi grupami w zakresie oceny jakości życia związanej ze zdrowiem, ani w zakresie funkcjonowania. AEs odnotowano u prawie wszystkich pacjentów włączonych do badania IMpassion130. W grupie atezolizumab z nab-paklitakselem istotnie statystycznie częściej występowały nudności, świąd, gorączka, neutropenia, kaszel, zawroty głowy, niedoczynność tarczycy, hipokaliemia, zapalenie jamy ustnej oraz zapalenie płuc.

Analitycy Agencji przedstawili zestawienie wyników dla porównania atezolizumabu skojarzonego z nab-paklitakselem w porównaniu do paklitakselu. Z uwagi na brak danych z poziomu pacjenta nie przeprowadzono formalnie porównania pośredniego między ramionami. Zestawienie wyników sugeruje, że skojarzenie atezolizumabu z nab-paklitakselem prowadzi do uzyskania dłuższego okresu wolnego od progresji choroby z krótszym przeżyciem całkowitym wobec paklitakselu. Ponadto odsetek odpowiedzi na leczenie był zbliżony (różnica o 4 pkt %), nieco wyższy w przypadku wnioskowanej interwencji. Zdarzenia niepożądane ciężkiego stopnia były częściej raportowane przez pacjentów przyjmujących ocenianą technologię niż w przypadku pacjentów przyjmujących paklitaksel.

Rada zwraca uwagę na to, że w badaniu IMpassion131 nie wykazano wyższości atezolizumabu w skojarzeniu z paklitakselem nad refundowanym w Polsce paklitakselem. Tym samym, wnioskodawca nie wykazał wyższości proponowanej interwencji nad refundowanym w Polsce komparatorem. Nie jest w pełni jasne z czego wynika rozbieżność pomiędzy wynikami badań IMpassion130 i IMpassion131. Amerykańska Agencja rejestracyjna FDA również zwraca uwagę w raporcie, że nie jasny jest efekt kliniczny całej grupy inhibitorów liganda programowanej śmierci 1.

Problem ekonomiczny

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy stosowanie atezolizumabu z nab-paklitakselem w miejsce nab-paklitakselu jest

Oszacowany ICUR z perspektywy NFZ dla stosowania tej technologii w Polsce. Uwzględniając wszystkie

wydatki płatnika publicznego ponoszone w populacji docelowej wzrosną w stosunku do scenariusza istniejącego kolejno o Odnaleziono 9 rekomendacji

refundacyjnych, w tym 4 pozytywne (NICE 2020, SMC 2020, NCPE 2020, GBA/IQWiG 2020).

Główne argumenty decyzji

- [redacted] dla stosowania atezolizumabu z nab-paklitakselem w proponowanym programie lekowym, [redacted].
- Rozbieżności pomiędzy wynikami badań IMpassion130 (atezolizumab z nab-paclitakselem) i IMpassion131 (atezolizumab z paclitakselem) i związana z tym niepewność co do rzeczywistej skuteczności atezolizumabu w omawianym wskazaniu.
- Brak refundacji nab-paklitakselu w Polsce we wskazaniu C50 (rak piersi).

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 523), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 1285 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OT.4331.70.2019 „Tecentriq (atezolizumab) w skojarzeniu z nab-paklitakselem w leczeniu raka piersi (ICD-10 C50)”, data ukończenia: 23.03.2022 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

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 30/2022 z dnia 4 kwietnia 2022 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku
Corgard (nadolol) w wielu wskazaniach

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację leku Corgard (nadolol), tabletki à 80 mg, we wskazaniach: zespół wydłużonego QT, polimorficzny częstoskurcz komorowy, nadciśnienie tętnicze, komorowe zaburzenia rytmu serca, zespół Andersen-Tawila.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Corgard (nadololum) jest znanym od dawna choć niedopuszczonym do obrotu w Polsce, nieselektywnym antagonistą receptora beta adrenergicznego.

Dowody naukowe

Nie odnaleziono nowszych rekomendacji klinicznych dotyczących zespołu wydłużonego QT, zespołu Andersen-Tawila oraz polimorficznego częstoskurczu komorowego od przedstawionych w poprzednim opracowaniu Agencji.

Publikacje medyczne powszechnie zwracają uwagę na odmienność działań poszczególnych betablokerów. Przykładowo co prawda nadolol i propranolol są oba betablokerami nie selektywnymi (hamują zarówno receptory beta 1 jak i beta 2) to w innych właściwościach istotnie się różnią. Nadolol jest rozpuszczalny w wodzie i wydalany głównie przez nerki, a propranolol jest lipofilny i głównie wydalany przez wątrobę.

Abu Zeitone (2014) analizując skuteczność atenololu, metoprololu, propranololu i nadololu w zespole wydłużonego QT (LQTS) stwierdził, iż nadolol jest jedynym betablokerem znacząco zmniejszającym ryzyko zdarzeń sercowych u pacjentów z wariantem genetycznym LQTS2. Propranolol był najmniej skuteczny u pacjentów wysokiego ryzyka.

Metaanaliza Lu Han z 2020r. obejmująca 16 badań wykazała, iż nadolol jest najskuteczniejszą terapią u pacjentów z LQTS2. Jednakże również u pacjentów z LQTS1 efektywność nadololu była wyższa w porównaniu do trzech innych betablokerów (atenololu, metoprololu i propranololu).



Problem ekonomiczny

Z uwagi na małe rozpowszechnienie pacjentów z wnioskowanymi wskazaniami sprowadzanie na import docelowy wnioskowanego leku nie stanowi istotnego obciążenia budżetu.

Główne argumenty decyzji

Pacjenci z wnioskowanymi wskazaniami stanowią grupę obciążoną wysokim ryzykiem najgroźniejszych powikłań sercowych a lek jest od dawna znany i dobrze przebadany.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust. 2 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 1285, z późn. zm.) oraz w zw. 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 2021 r., poz. 523), z uwzględnieniem opracowania nr: OT.4211.2.2022 „Corgard (nadolol) we wskazaniach: zespół wydłużonego QT, polimorficzny częstoskurcz komorowy, nadciśnienie tętnicze, komorowe zaburzenia rytmu serca, zespół Andersen-Tawila”, data ukończenia: 30.03.2022 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 48/2022 z dnia 4 kwietnia 2022 roku

w sprawie zasadności wprowadzenia zmian w programie lekowym B.75 „Leczenie aktywnej postaci ziarniniakowatości z zapaleniem naczyń (GPA) lub mikroskopowego zapalenia naczyń (MPA) (ICD-10 M31.3, M31.8)”

Rada Przejrzystości uważa za zasadne wprowadzenie zmian w programie lekowym: B.75 „Leczenie aktywnej postaci ziarniniakowatości z zapaleniem naczyń (GPA) lub mikroskopowego zapalenia naczyń (MPA) (ICD-10 M31.3, M31.8)”.

Uzasadnienie

Ziarniniakowatość z zapaleniem naczyń (GPA) i mikroskopowe zapalenie naczyń są rzadkimi chorobami autoimmunologicznymi. Częstość występowania GPA w Europie wynosi 25-100 osób na 1 mln mieszkańców, a roczna zapadalność ok. 5-20 osób na milion mieszkańców. Ich leczenie polega na stosowaniu leków immunosupresyjnych

Wniosek dotyczy zmiany w funkcjonującym programie lekowym B.75. Główna zmiana polega na możliwości stosowania rytuksymabu w leczeniu podtrzymującym.

Dowody naukowe

Badanie MAINRITSAN wykazało, że niska dawka rytuksymabu była skuteczniejsza niż pomniejszone dawki azatiopryny w utrzymaniu ogólnoustrojowej i nerkowej remisji po 28 miesiącu.

Proponowane zmiany są obecne w większości wytycznych towarzystw naukowych.

Wpływ na budżet płatnika

Do leczenia podtrzymującego rytuksymabem będzie się kwalifikowało 30-55 osób/rok, roczne koszty na podstawie komunikatu DGL, jakie będzie musiał



*ponieść płatnik publiczny w pierwszym roku wyniosq 193 tys. – 353 tys. zł,
a w drugim roku wyniosq 321 tys. – 589 tys. zł.*

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 2021 r., poz. 1285, z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania nr: OT.4220.1.2022 „Opracowanie dotyczące oceny zasadności wprowadzenia zmian w zapisach programu lekowego B.75: »Leczenie aktywnej postaci ziarniniakowatości z zapaleniem naczyń (GPA) lub mikroskopowego zapalenia naczyń (MPA) (ICD-10 M31.3, M 31.8)«”, data ukończenia: 30.03.2022 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 49/2022 z dnia 4 kwietnia 2022 roku

o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców Gminy Lubiszyn na lata 2022-2026”

Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców Gminy Lubiszyn na lata 2022-2026”.

Uzasadnienie

Projekt programu dotyczy „rehabilitacji”, należącej do priorytetów zdrowotnych wymienionych w rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 27 lutego 2018 r. (Dz. U. z 2018 r. poz. 469). Realizację programu zaplanowano w odpowiedzi na brak dostępności do świadczeń rehabilitacyjnych.

Celem głównym poprawa stanu zdrowia i jakości życia mieszkańców, poprzez zmniejszenie zachorowalności oraz poprawę jakości życia osób chorych i przywracanie im sprawności, a także poprawa lub podtrzymywanie ogólnej sprawności osób z przewlekłymi lub pourazowymi schorzeniami narządu ruchu, układu kostnego i mięśniowego lub ośrodkowego/obwodowego układu nerwowego. Nie zaplanowano narzędzi do oceny funkcjonowania uczestników programu. Trudno będzie osiągnąć cel programu i zmierzyć jego efektywność. Planowane interwencje to indywidualny plan rehabilitacyjny i działania informacyjne. Autorzy projektu podkreślili, że należy położyć nacisk na edukację zdrowotną lokalnej społeczności. Jednocześnie w Programie nie zaplanowano interwencji edukacyjnych. Populacja objęta programem to mieszkańcy gminy Lubiszyn posiadający skierowanie od lekarza (350-600 osób), w tym dzieci i młodzież (55-85 osób).

Po przeanalizowaniu PPZ oraz Raportu analitycznego stwierdza się, że przedstawiony do oceny Program nie spełnia kryteriów określonych w rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 22 grudnia 2017 r. w sprawie wzoru programu polityki zdrowotnej, wzoru raportu końcowego z realizacji programu polityki zdrowotnej oraz sposobu sporządzenia projektu programu polityki zdrowotnej i raportu końcowego z realizacji programu polityki zdrowotnej (DzU. poz. 2476) w zakresie mierników zdrowotnych, kryteriów wykluczenia oraz



budżetu programu polityki zdrowotnej. W projekcie programu nie podano kosztów jednostkowych. Projekt zawiera zdawkowy opis etapów i działań podejmowanych w ramach programu. Dodatkowo w projekcie programu nie przedstawiono protokołów/przewodników do opieki zawierających treści realizowanych interwencji edukacyjnych. Wskazano jedynie działania informacyjne odnoszące się do informowania o usługach. Rekomendacje kliniczne wskazują na skuteczność interwencji polegających na badaniu pacjenta, treningu fizycznym, edukacji, poradzie dietetyka i wsparciu psychologicznym (ACCP 2007)

Uwaga Rady:

Program powinien zostać poprawiony i ponownie przedstawiony do rozpatrzenia. W ramach korekty należy uwzględnić uwagi zawarte w raporcie AOTMiT.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48a ust. 8 pkt 3, w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 3 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 1285, z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr: OT.431.11.2022 „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej gminy Lubiszyn na lata 2022-2026”, data ukończenia: marzec 2022 oraz Aneksu do raportów szczegółowych „Programy z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży –wspólne podstawy oceny” z sierpnia 2016 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 50/2022 z dnia 4 kwietnia 2022 roku

o projekcie programu „Leczenie niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego – in vitro dla mieszkańców Pyskowic w latach 2022-2025”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Leczenie niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego – in vitro dla mieszkańców Pyskowic w latach 2022-2025”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady oraz zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest projekt programu polityki zdrowotnej miasta Pyskowice w zakresie leczenia niepłodności, zakładający przeprowadzenie procedury zapłodnienia pozaustrojowego. Populację docelową będą stanowiły pary w wieku 20-42 lat zamieszkujące na terenie miasta Pyskowice, u których stwierdzono niepłodność kobiety i/lub mężczyzny i wyczerpały się inne możliwości jej leczenia. Okres realizacji programu został wyznaczony na lata 2022-2025. Wnioskodawca prognozuje, że dzięki interwencjom przewidzianym w programie należy spodziewać się narodzin około ośmiorga dzieci.

Oszacowano epidemiologię, zdefiniowano cele szczegółowe, określono budżet całkowity i jednostkowy, populację, kryteria kwalifikacji, odniesiono się do warunków dotyczących personelu, wyposażenia i warunków lokalowych oraz przewidziano ocenę jakości świadczeń. Wnioskodawca uwzględnił również możliwość zamrażania oocytów, jeśli para zechce zminimalizować ilość zamrożonych embrionów. Zaplanowane przez Wnioskodawcę działania w zakresie poradnictwa są zasadniczo zgodne z aktualnymi wytycznymi (NHMRC 2017, ACOG 2016, ESHRE 2015, IFFS 2015A, EBCOG 2014, IFFS 2014, SOGC 2014, NICE 2013).

Ocena metody zapłodnienia pozaustrojowego wymaga uwzględnienia zarówno elementów skuteczności i bezpieczeństwa klinicznego, jak i aspektów etycznych, prawnych i społecznych w perspektywie krótko-, jak i długoterminowej. Ustawa o leczeniu niepłodności z dnia 25 czerwca 2015 r. określa jedynie ogólne zasady pozyskiwania i przechowywania gamet oraz zarodków, stawiając



adresata norm prawnych przed koniecznością opracowania szczegółowych procedur postępowania w sytuacjach nieuregulowanych ustawą.

Uwagi Rady:

- należy minimalizować przyrost liczby kriokonserwowanych zarodków zdolnych do rozwoju, które nie są transferowane; ich liczba powinna być monitorowana i uwzględniana w ewaluacji programu,*
- nie sprecyzowano zasad postępowania i przechowywania zarodków po upływie ustawowego 20-letniego okresu przechowywania; kwestie te powinny być omówione z beneficjentami w przed uzyskaniem zgody na wykonanie procedur przewidzianych w programie,*
- może budzić wątpliwości przeniesienie na beneficjentów kosztów przechowywania kriokonserwowanych zarodków i/lub oocytów powstałych w efekcie przeprowadzonej w ramach programu procedury IVF, bowiem w perspektywie wieloletniej naraża to pacjentów na koszty przewyższające kwotę proponowanego dofinansowania i może ograniczać dostęp mniej zamożnym parom,*
- w przypadku zapłodnienia z użyciem gamet dawców należy uwzględnić kwestie związane z prawem do poznania pochodzenia biologicznego osób poczętych w ramach tej procedury i omówić z dawcami i beneficjentami ryzyka związane z niemożnością zachowania anonimowości dawstwa,*
- zaproponowane mierniki efektywności odpowiadające celom programu zostały sformułowane nieprawidłowo, gdyż stanowią powtórzenie celów szczegółowych.*

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48a ust. 8 pkt 3, w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 3 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 1285, z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr: OT.431.12.2022 „Leczenie niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego – in vitro dla mieszkańców Pyskowic w latach 2022-2025”, data ukończenia: marzec 2022 oraz Aneksu do raportów szczegółowych „Programy z zakresu diagnostyki i leczenia niepłodności – wspólne podstawy oceny” z lutego 2022 r.