



BP.401.39.2022.MKZ

**Protokół nr 37/2022
z posiedzenia Rady Przejrzystości
w dniu 19 września 2022 roku
w formie wideokonferencji**

Rafał Niżankowski otworzył posiedzenie o godzinie 10:02

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

1. Anna Gręziak
2. Maciej Karaszewski
3. Dorota Kilańska
4. Marcin Kołakowski
5. Adam Maciejczyk
6. Marcin Lipowski
7. Mirosław Markowski
8. Tomasz Młynarski
9. Michał Myśliwiec
10. Rafał Niżankowski
11. Tomasz Pasierski
12. Jakub Pawlikowski
13. Tomasz Romańczyk
14. Rafał Suwiński
15. Piotr Szymański
16. Janusz Szynkler
17. Monika Urbaniak

Członkowie Rady nieobecni na posiedzeniu:

1. Anetta Undas

Proponowany porządek obrad:

1. Ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Kerendia (finerenonum) we wskazaniu: leczenie chorych na przewlekłą chorobę nerek (stadium 3 i 4, z albuminurią) powiązaną z cukrzycą typu 2. u dorosłych leczonych insuliną.
3. Przygotowanie opinii o projektach programów polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego:
 - 1) „Program edukacyjno-zdrowotny pierwszej pomocy przedlekarskiej dla uczniów na lata 2022-2024” (gm. Kwidzyn),
 - 2) „Program polityki zdrowotnej profilaktyki i wczesnego wykrywania raka jelita grubego wśród mieszkańców województwa podlaskiego”.

4. Przygotowanie opinii w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną spironolactonum we wskazaniu: pozawałowa dysfunkcja skurczowa lewej komory.
5. Przygotowanie opinii w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną bisoprololum we wskazaniu: tachyarytmie nadkomorowe – u pacjentów powyżej 6 r.ż.
6. Przygotowanie opinii w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną amoxicillinum we wskazaniu: zakażenia u pacjentów z niedoborami odporności – profilaktyka.
7. Przygotowanie opinii w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancje czynne amoxicillinum + acidum clavulanicum we wskazaniu: zakażenia u pacjentów z niedoborami odporności – profilaktyka.
8. Przygotowanie opinii w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancje czynne sulfamethoxazolium + trimethoprimum we wskazaniu: zakażenia u pacjentów leczonych cyklofosfamidem – profilaktyka.
9. Przygotowanie opinii w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną chlorambucilum we wskazaniu: amyloidoza.
10. Przygotowanie opinii w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną tacrolimusum we wskazaniach: idiopatyczny zespół nerczycowy - w przypadku nietolerancji cyklosporyny lub oporności na cyklosporynę; toczniowe zapalenie nerek – w przypadku nietolerancji cyklosporyny lub oporności na cyklosporynę.
11. Zakończenie posiedzenia.

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

Przewodniczący Rady zaproponował dodanie do porządku obrad punktu dotyczącego zakresień w uchwałach Rady Przejrzystości.

Zmieniony porządek obrad:

1. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Kerendia (finerenonum) we wskazaniu: leczenie chorych na przewlekłą chorobę nerek (stadium 3 i 4, z albuminurią) powiązaną z cukrzycą typu 2. u dorosłych leczonych insuliną.
2. Przygotowanie opinii o projektach programów polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego:
 - 3) „Program edukacyjno-zdrowotny pierwszej pomocy przedlekarskiej dla uczniów na lata 2022-2024” (gm. Kwidzyn),
 - 4) „Program polityki zdrowotnej profilaktyki i wczesnego wykrywania raka jelita grubego wśród mieszkańców województwa podlaskiego”.
3. Zakreślenia w uchwałach Rady Przejrzystości.
4. Przygotowanie opinii w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną spironolactonum we wskazaniu: pozawałowa dysfunkcja skurczowa lewej komory.
5. Przygotowanie opinii w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną bisoprololum we wskazaniu: tachyarytmie nadkomorowe – u pacjentów powyżej 6 r.ż.
6. Przygotowanie opinii w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną amoxicillinum we wskazaniu: zakażenia u pacjentów z niedoborami odporności – profilaktyka.
7. Przygotowanie opinii w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancje czynne amoxicillinum + acidum clavulanicum we wskazaniu: zakażenia u pacjentów z niedoborami odporności – profilaktyka.

8. Przygotowanie opinii w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancje czynne sulfamethoxazolium + trimethoprimum we wskazaniu: zakażenia u pacjentów leczonych cyklofosfamidem – profilaktyka.
9. Przygotowanie opinii w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną chlorambucilum we wskazaniu: amyloidoza.
10. Przygotowanie opinii w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną tacrolimusum we wskazaniach: idiopatyczny zespół nerczycowy - w przypadku nietolerancji cyklosporyny lub oporności na cyklosporynę; toczniowe zapalenie nerek – w przypadku nietolerancji cyklosporyny lub oporności na cyklosporynę.
11. Zakończenie posiedzenia.

Rada jednogłośnie (17 głosami „za”) przyjęła zmieniony porządek obrad.

Ad 2. Analityk Agencji przedstawił najważniejsze informacje z raportu w sprawie oceny leku Kerendia (wniosek refundacyjny) we wskazaniu dot. przewlekłej choroby nerek powiązanej z cukrzycą typu 2.

We wstępnej dyskusji głos zabrali: Tomasz Pasierski, Rafał Niżankowski, Mirosław Markowski oraz Janusz Szyndler.

Projekt stanowiska Rady przedstawił Michał Myśliwiec.

W dalszej części dyskusji udział brali: Rafał Niżankowski, Piotr Szymański, Tomasz Pasierski, Michał Myśliwiec, Mirosław Markowski, Maciej Miłkowski, Wojciech Wysoczański, Jakub Pawlikowski, Janusz Szyndler, Rafał Suwiński.

W formułowaniu końcowej wersji stanowiska udział brali: Michał Myśliwiec, Tomasz Pasierski, Rafał Niżankowski, Dorota Kilańska i Mirosław Markowski.

W związku z brakiem innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 12 głosami „za”, przy 5 głosach „przeciw” (17 osób obecnych) uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 1 do protokołu).

Ad 3 1) Analityk Agencji omówił program polityki zdrowotnej gminy Kwidzyn z zakresu ratownictwa medycznego, a propozycję opinii Rady przedstawił Rafał Niżankowski.

W dyskusji uczestniczyli: Mirosław Markowski, Dorota Kilańska, Rafał Niżankowski, Michał Myśliwiec, Rafał Suwiński oraz Roman Topór-Mądry.

W związku z brakiem innych głosów Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 13 głosami „za”, przy 5 głosach „przeciw” (17 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 2 do protokołu).

2) Analityk Agencji omówił program polityki zdrowotnej województwa podlaskiego z zakresu profilaktyki i wczesnego wykrywania raka jelita grubego.

We wstępnej dyskusji głos zabrali: Maciej Karaszewski, Mirosław Markowski i Rafał Niżankowski.

Propozycję opinii Rady przedstawił Rafał Suwiński.

W dalszej części dyskusji uczestniczyli: Maciej Karaszewski, Rafał Suwiński, Rafał Niżankowski, Mirosław Markowski i Tomasz Romańczyk.

W związku z brakiem innych głosów Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (17 głosami „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 3 do protokołu).

Ad 4. Rada przeprowadziła dyskusję w sprawie informacji zakreślanych w uchwałach Rady Przejrzystości, w której głos zabrali: Michał Myśliwiec, Tomasz Młynarski, Tomasz Pasierski, Anna Gręziak, Piotr Szymański, Rafał Niżankowski, Janusz Szyndler, Joanna Parkitna i Roman Topór-Mądry.

W związku z brakiem innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (17 osób obecnych) podjęła uchwałę (załącznik nr 4 do protokołu)

Rada zwróciła się także z prośbą do Prezesa AOTMiT o przygotowanie zestawienia wartościowych interwencji w obszarze zdrowia publicznego, pożądaných do realizacji w ramach PPZ, po czym Przewodniczący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (17 osób obecnych) podjęła uchwałę (załącznik nr 5 do protokołu).

Ponad to Rada dyskutowała nad kwestią potrzeby zawarcia w analizach weryfikacyjnych Agencji porównania interwencji z uwzględnieniem instrumentów podziału ryzyka zastosowanych dla komparatorów wnioskowanych technologii. W dyskusji głos zabrali: Piotr Szymański, Mirosław Markowski, Janusz Szyndler, Roman Topór-Mądry, Tomasz Młynarski, Maciej Karaszewski, Tomasz Romańczyk, Jakub Pawlikowski, Wojciech Wysoczański oraz Maciej Miłkowski.

W związku z brakiem innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (17 osób obecnych) podjęła uchwałę (załącznik nr 6 do protokołu)

Ad 5. Tomasz Pasierski przedstawił propozycję opinii Rady w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną spironolactonum we wskazaniu: pozawałowa dysfunkcja skurczowa lewej komory.

W dyskusji głos zabrali: Janusz Szyndler, Tomasz Pasierski, Maciej Miłkowski, Rafał Niżankowski, Piotr Szymański oraz Mirosław Markowski.

Wobec braku innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (17 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 7 do protokołu).

Ad .6 Piotr Szymański przedstawił propozycję opinii Rady w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną bisoprololum we wskazaniu: tachyarytmie nadkomorowe – u pacjentów powyżej 6 r.ż.

Wobec braku głosów w dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (17 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 8 do protokołu).

Ad 7. Maciej Karaszewski przedstawił propozycję opinii Rady w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną amoxicillinum we wskazaniu: zakażenia u pacjentów z niedoborami odporności – profilaktyka.

W dyskusji głos zabrali Tomasz Pasierski i Rafał Niżankowski.

Wobec braku innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 14 głosami „za”, przy 3 głosach „przeciw” (17 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 9 do protokołu).

Ad 8. Janusz Szyndler przedstawił propozycję opinii Rady w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancje czynne amoxicillinum + acidum clavulanicum we wskazaniu: zakażenia u pacjentów z niedoborami odporności – profilaktyka.

W dyskusji uczestniczyli: Maciej Miłkowski, Anna Gręziak i Rafał Niżankowski.

Wobec braku innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 14 głosami „za”, przy 3 głosach „przeciw” (17 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 10 do protokołu).

Ad 9. Mirosław Markowski przedstawił propozycję opinii Rady w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancje czynne sulfamethoxazolum + trimethoprimum we wskazaniu: zakażenia u pacjentów leczonych cyklofosfamidem – profilaktyka.

Wobec braku głosów w dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (17 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 11 do protokołu).

Ad 10. Adam Maciejczyk przedstawił propozycję opinii Rady w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną chlorambucilum we wskazaniu: amyloidoza.

W dyskusji głos zabrali: Tomasz Pasierski, Rafał Niżankowski, Adam Maciejczyk i Maciej Karaszewski.

Wobec braku innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 15 głosami „za”, przy 2 głosach „przeciw” (17 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 12 do protokołu).

Ad 11. Tomasz Romańczyk przedstawił propozycję opinii Rady w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną tacrolimusum we wskazaniach: idiopatyczny zespół nerczycowy – w przypadku nietolerancji cyklosporyny lub oporności na cyklosporynę; toczniowe zapalenie nerek – w przypadku nietolerancji cyklosporyny lub oporności na cyklosporynę.

W dyskusji głos zabrali: Mirosław Markowski, Tomasz Romańczyk, Rafał Niżankowski oraz Maciej Miłkowski.

Wobec braku innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (17 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 13 do protokołu).

Ad 12. Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 13:03.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 90/2022 z dnia 19 września 2022 roku
w sprawie oceny leku Kerendia (finerenonum) we wskazaniu: leczenie
chorych na przewlekłą chorobę nerek (stadium 3 i 4, z albuminurią)
powiązaną z cukrzycą typu 2. u dorosłych leczonych insuliną

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktów leczniczych:

- *Kerendia (finerenonum), 10 mg, tabletki, 14 sztuk, kod GTIN: 04057598013536,*
- *Kerendia (finerenonum), 20 mg, tabletki, 14 sztuk, kod GTIN: 04057598013581,*

we wskazaniu leczenie chorych na przewlekłą chorobę nerek (stadium 3 i 4, z albuminurią) powiązaną z cukrzycą typu 2. u dorosłych leczonych insuliną.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Zgodnie z definicją KDIGO (Kidney Disease Improving Global Outcome) przewlekła choroba nerek (PChN) jest to utrzymujące się >3. miesiące nieprawidłowości strukturalne lub czynnościowe nerek, niosące konsekwencje dla zdrowia pacjenta w zakresie zarówno jakości życia (w tym także trwałej lub okresowej niezdolności do pracy z powodu PChN) jak i ryzyka przedwczesnego zgonu. PChN jest klasyfikowana na 5 kategorii (G1-G5), w zależności od wartości orientacyjnej filtracji kłębuszkowej (eGFR) oraz wielkości albuminurii (A1-A3). Kategoria G5 PChN jest to niewydolność nerek, leczona dializami lub przeszczepieniem nerki. Wskazanie obejmuje pacjentów z kategorią eGFR od G3 (eGFR <60 ml/min/1,73m²) do G4 (eGFR 29-15) oraz przewlekłą albuminurią w kategorii A2 i A3 (ACR ≥ 30 mg/g). W kategorii G3 PChN dochodzi do utraty apetytu, osłabienia (u części chorych z powodu anemii), wielomoczu, nykturii, zwiększonego pragnienia i nadciśnienia tętniczego. W przypadku zaawansowania choroby w kategorii G4 (GFR 15-29 ml/min./1,73 m²) powyższe objawy, zwłaszcza objawy ze strony układu pokarmowego, ulegają nasileniu. Na tym etapie zaawansowania choroby występuje kwasica nieoddechowa i zaburzenia mineralne i kostne oraz zwapnienia tkanek miękkich. W licznej

grupie pacjentów dochodzi do powikłań sercowo-naczyniowych (przerost lewej komory, zawał, niewydolności serca lub udar).

Niezależnie od przyczyny PChN, w jej postępie dużą rolę odgrywa zastępowanie miększu nerki tkanką włóknistą, m.in. za pośrednictwem aldosteronu.

Cukrzyca typu 2 (D2T) jest to choroba metaboliczna, charakteryzująca się hiperglikemią, wynikającą z obniżenia wrażliwości tkanek na działania insuliny. Przewlekła hiperglikemia wiąże się z uszkodzeniem, zaburzeniem czynności i niewydolnością różnych narządów, zwłaszcza oczu, nerek, nerwów, serca i naczyń krwionośnych. Cukrzyca typu 2 jest najczęstszą przyczyną PChN. Albuminuria jest objawem uszkodzenia nerek i predysponuje do postępu PChN.

Cukrzycę typu 2 leczy się: metforminą (do G3), lekami inkretynowymi, agonistą receptora GLP-1, inhibitorami kotransportera sodowo-glukozowego (SGLT2), a w razie braku efektu – insuliną, iACE/ARB i statyną. Do podstawowych leków można dodać finerenon (FIN).

Finerenon jest niesteroidowym, selektywnym antagonistą receptora mineralokortykoidowego, który jest aktywowany przez aldosteron i kortyzol oraz reguluje transkrypcję genów prozapalnych i wywołujących włóknienie. Finerenon ma zmniejszać stan zapalny i włóknienie nerki, przez co zapobiegać postępowi PChN. Wniosek dotyczy wskazania rejestracyjnego.

Dowody naukowe

Do przeglądu systematycznego wnioskodawcy włączono jedno pierwotne badanie z randomizacją, porównujące skuteczność FIN, w porównaniu z placebo, w leczeniu PChN stadium 3. i 4., z albuminurią u pacjentów z D2T - badanie FIDELIO (publikacja Barkis 2020, Filippatos 2021i Rossing 2022). U prawie 5 000 osób randomizowanych do grupy leczonej i placebo oceniano pierwszorzędowy złożony punkt końcowy, uwzględniający:

- czas do pierwszego wystąpienia niewydolności nerek;
- utrzymujące się zmniejszenie eGFR o $\geq 40\%$;
- zgon z powodu choroby nerek.

Drugorzędowy złożony punkt końcowy obejmował: czas do pierwszego wystąpienia zgonu z przyczyn sercowo-naczyniowych, zawał mięśnia sercowego, udar mózgu lub niewydolność serca. Ponadto wnioskodawca włączył do analizy 7 opracowań wtórnych: Abdelazeem 2022, Zhang 2022, Zhao 2022, Zheng 2022, Fu 2021, Sanchez 2021, Chung 2020.

W badaniu FIDELIO, u pacjentów stosujących insulinoterapię, wykazano IS zmniejszenie ryzyka wystąpienia:

- pierwszorzędowego złożonego PK w grupie pacjentów leczonych FIN+BT względem PLC+BT: HR = 0,85 (95%CI: 0,73; 0,98);

- *kluczowego drugorzędowego złożonego PK w grupie pacjentów leczonych FIN+BT względem PLC+BT: HR =0,82 (95%CI: 0,69; 0,97);*
- *drugorzędowego złożonego PK dla nerek w grupie pacjentów leczonych FIN+BT względem PLC+BT: HR = 0,74 (95%CI: 0,59; 0,94). Wszystkie analizowane powyżej PK występowały częściej w grupie leczonej PLC+BT względem FIN+BT:*
- *pierwszorzędowy złożony PK: 9,28zdarzeń/100 pacjentolat vs. 7,85 zdarzeń/100 pacjentolat;*
- *kluczowy złożony drugorzędowy PK: 6,79 zdarzeń/100 pacjentolat vs. 5,56 zdarzeń/100 pacjentolat;*
- *drugorzędowy złożony PK –nerki: 4,48 zdarzeń/100 pacjentolat vs. 3,76 zdarzeń/100 pacjentolat. Wyniki odnalezionych badań wtórnych są zgodne z wnioskami z AKL wnioskodawcy.*

W badaniu FIDELIO nie wykazano IS różnic pomiędzy grupami FIN+BT i PLC+BT, dla częstości zdarzeń niepożądanych prowadzących do zgonu. Wystąpiły one u 1,3% chorych leczonych FIN+BT oraz 2% chorych otrzymujących PLC+BT. Nie wykazano też IS różnic dla częstości ciężkich działań niepożądanych. Wystąpiły one u 2% chorych leczonych FIN+BT oraz 1,3% chorych otrzymujących PLC+BT. Wykazano IS różnice pomiędzy grupami FIN+BT i PLC+BT, dla częstości hiperkalemii i ciężkiej hiperkalemii. W grupie leczonej częściej występowały TEAE, prowadzące do przerwania leczenia: OR = 1,31 (95%CI: 1,00; 1,72), NNH = 50 (95%CI: 31; 10 000). Była to głównie hiperkalemia prowadząca do przerwania leczenia: OR = 2,34 (95%CI: 1,36; 4,02), NNH = 100 (95%CI: 50; 100). Do czynników ryzyka hiperkalemii należą: niski eGFR, zwiększenie stężenia potasu w surowicy i wcześniejsze epizody hiperkalemii. Wskazane jest monitorowanie stężenia potasu w osoczu i dostosowaniu dawki leku Kerendia. Do działań niepożądanych, które występują u więcej niż 1% pacjentów leczonych Kerendia należą wg ChPL: hiperkalemia, niedociśnienia oraz hiponatremia.

Problem ekonomiczny

Wyniki CUA wykazały, że z perspektywy NFZ stosowanie terapii skojarzonej FIN+BT w miejsce BT jest droższe i skuteczniejsze, przy niskim efekcie klinicznym, który dodatkowo jest mało wiarygodny, opartym na zastępczych punktach końcowych.

Nie odnaleziono żadnych rekomendacji refundacyjnych dotyczących ocenianej technologii lekowej. Odnaleziono jedynie informacje o trwających pracach nad oceną w instytucjach NICE, SMC, NCPE oraz CADTH.

Główne argumenty decyzji

1. *Badanie FIDELIO było porównaniem finerenonu z placebo, a nie wobec aktywnego komparatora.*

2. *Nie ma żadnych rekomendacji refundacyjnych (NICE miał opublikować stanowisko do 14 września 2022).*
3. *Lek nie jest finansowany w żadnym kraju UE iEFTA (na 30 wskazanych).*
4. *Oszacowanie populacji budzi wątpliwości.*

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 2022 r., poz. 463), 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.4230.6.2022 „Wniosek o objęcie refundacją leku Kerendia (finerenon) we wskazaniu: Leczenie chorych na przewlekłą chorobę nerek (stadium 3 i 4, z albuminurią powiązaną z cukrzycą typu 2. u dorosłych leczonych insuliną”. Data ukończenia: 08.09.2022 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 139/2022 z dnia 19 września 2022 roku
o projekcie programu „Program edukacyjno-zdrowotny pierwszej
pomocy przedlekarskiej dla uczniów na lata 2022-2024”
(gm. Kwidzyn)

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program edukacyjno-zdrowotny pierwszej pomocy przedlekarskiej dla uczniów na lata 2022-2024” (gm. Kwidzyn).

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest projekt programu polityki zdrowotnej, zaplanowany do realizacji przez gminę Kwidzyn. Program zakłada przeprowadzenie teoretycznych i praktycznych szkoleń z zakresu udzielania pierwszej pomocy przedmedycznej. Szkoleniami zostaną objęci uczniowie klas V-VII szkół podstawowych z terenu gminy. Program ma być zrealizowany w latach 2022-2024. Planowane koszty całkowite zostały określone na 10 340 zł.

W zakres szkolenia wchodzić będą także 2-godzinne ćwiczenia na fantomie, które mają być prowadzone w dwóch grupach. Wnioskodawca zaznacza, że podczas pierwszej godziny, pierwsza grupa będzie wykonywać na fantomie masaż serca i sztuczne oddychanie, natomiast druga grupa w tym czasie będzie ćwiczyć sytuacje pozorowane polegające na rozpoznaniu obrażeń przez ćwiczących i postępowaniu w zależności od urazu z wykorzystaniem środków opatrunkowych. Z kolei na drugiej godzinie ma nastąpić zamiana grup. Wnioskodawca zaznacza, że program ma być „oparty o aktualne wytyczne Europejskiej Rady Resuscytacji z 2021 roku”.

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.431.55.2022 „Program edukacyjno-zdrowotny pierwszej pomocy przedlekarskiej dla uczniów na lata 2022-2024” realizowany przez: Gminę Kwidzyn, Warszawa, wrzesień 2022

oraz Aneksu „Programy polityki zdrowotnej dotyczące edukacji oraz innych działań w zakresie udzielania pierwszej pomocy przedmedycznej – wspólne podstawy oceny” z kwietnia 2021 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 140/2022 z dnia 19 września 2022 roku
o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej profilaktyki
i wczesnego wykrywania raka jelita grubego wśród mieszkańców
województwa podlaskiego”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej profilaktyki i wczesnego wykrywania raka jelita grubego wśród mieszkańców województwa podlaskiego”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest projekt programu polityki zdrowotnej zaplanowany do realizacji przez województwo podlaskie. W projekcie założono przeprowadzenie akcji informacyjno-edukacyjnej, konsultacji anestezjologicznej oraz kolonoskopii. Populację docelową programu stanowić mają mieszkańcy województwa podlaskiego w wieku: 50-65 lat, mieszkańcy w wieku 40-49 lat, którzy mieli w rodzinie przynajmniej jednego krewnego pierwszego stopnia (rodzice, rodzeństwo, dzieci) chorego na raka jelita grubego oraz mieszkańcy w wieku 25-49 lat pochodzący z rodziny z zespołem Lyncha. Program dotyczy osób, które dotychczas nie leczyły się z powodu nowotworów jelita grubego.

Projektowana populacja i proponowane interwencje w zadowalającym stopniu wpisują się w rekomendacje zawarte w opinii Rady Przejrzystości nr 26/2022 z dnia 28 lutego 2022 roku w sprawie zalecanych technologii medycznych, działań przeprowadzanych w ramach programów polityki zdrowotnej oraz warunków realizacji tych programów, dotyczących profilaktyki nowotworu jelita grubego.

Budżet programu oszacowano na 2 742 000 zł, główne koszty jednostkowe to akcja promocyjno-informacyjna –30000 zł, działania edukacyjne –190000 zł, badania kolonoskopowe –1640000 zł (820 zł/os.), usługa zdrowotna –760000 zł, koordynacja programu –120000 zł, oraz monitorowanie i ewaluacja –2000zł. W projekcie zaznaczono, że biorąc pod uwagę zaplanowany budżet, populacja możliwa do włączenia do programu to 2000 osób.

Rada zwraca uwagę na to, że raport AOTMiT zawiera stosunkowo liczne uwagi szczegółowe dotyczące zapisów zawartych w projekcie. W szczególności,

nie przedstawiono żadnego poprawnie sformułowanego miernika efektywności oraz nie odniesiono się do kosztów przeprowadzenia monitorowania i ewaluacji programu. Z tych powodów warunkiem realizacji programu jest uwzględnienie uwag zawartych 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.431.56.2022 „Program polityki zdrowotnej profilaktyki i wczesnego wykrywania raka jelita grubego wśród mieszkańców województwa podlaskiego” realizowany przez: Województwo podlaskie, Warszawa, wrzesień 2022 oraz Raportu nr: OT.434.1.2022 „Profilaktyka nowotworu jelita grubego” z lutego 2022 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezysie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Uchwała Rady Przejrzystości
nr 246/2022 z dnia 19 września 2022 roku
w sprawie niepublikowanych danych dotyczących
skuteczności klinicznej i bezpieczeństwa

Rada Przejrzystości stoi na stanowisku, że wszystkie dane dotyczące skuteczności klinicznej i bezpieczeństwa, stanowiące podstawę decyzji Rady powinny być jawne dla pacjentów i lekarzy korzystających z wnioskowanych technologii medycznych, a także dla pozostałych interesariuszy. Rada Przejrzystości nie będzie uwzględniać w swojej ocenie danych niepublikowanych dotyczących skuteczności klinicznej i bezpieczeństwa wnioskowanych technologii, które na wniosek wnioskodawcy pozostaną utajnione w dokumentacji składanej przez wnioskodawcę oraz publikowanym raporcie analitycznym Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Uchwała Rady Przejrzystości
nr 247/2022 z dnia 19 września 2022 roku
w sprawie zestawienia wartościowych interwencji
w obszarze zdrowia publicznego

Rada Przejrzystości zwraca się do Prezesa AOTMiT o przygotowanie zestawienia wartościowych interwencji w obszarze zdrowia publicznego, pożądanych do realizacji w ramach programów polityki zdrowotnej.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Uchwała Rady Przejrzystości
nr 248/2022 z dnia 19 września 2022 roku
w sprawie efektywnego kosztu leczenia

Rada Przejrzystości stoi na stanowisku, iż Analiza Weryfikacyjna Agencji winna zawierać porównanie interwencji z uwzględnieniem instrumentów podziału ryzyka zastosowanych dla komparatorów wnioskowanej technologii.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 141/2022 z dnia 19 września 2022 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną
spironolactonum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania,
lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce
Produktu Leczniczego

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną spironolactonum we wskazaniu pozarejestacyjnym: pozawałowa dysfunkcja skurczowa lewej komory.

Uzasadnienie

Opinia Rady Przejrzystości 336/2019 z dnia 21 października 2019 roku była pozytywna. Rekomendacje międzynarodowych towarzystw naukowych zalecają stosowanie antagonistów receptora mineralokortykoidowego w farmakoterapii chorych z niewydolnością serca i obniżoną frakcją wyrzutową.

Odnalezione dowody naukowe nie zmieniają wnioskowania z poprzednich raportów dotyczących stosowania analizowanej substancji czynnej w ocenianej jednostce chorobowej (opracowania nr OT.4321.44.2019 oraz OT.434.50.2016).

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2022 r., poz. 463), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 1285 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności dalszego finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr: OT.4221.47.2022, Aneks do raportów nr: OT.4321.44.2019, OT.434.50.2016, „Spironolakton we wskazaniu: Pozawałowa dysfunkcja skurczowa lewej komory”. Data ukończenia: 13 września 2022 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 142/2022 z dnia 19 września 2022 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną
bisoprololum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania,
lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce
Produktu Leczniczego

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną bisoprololum we wskazaniu pozarejestacyjnym: tachyarytmie nadkomorowe – u pacjentów powyżej 6 r.ż.

Uzasadnienie

Wymieniona substancja czynna została pozytywnie zaopiniowana przez Radę Przejrzystości 21 października 2019 r. (ORP nr 337/2019). Rekomendacje międzynarodowych towarzystw naukowych zalecają stosowanie beta-blokerów w leczeniu tachyarytmii nadkomorowych. Mają one udowodnioną skuteczność, między innymi jako leki hamujące pobudzenie układu adrenergicznego. Stosowane są bardzo często w zakresie wymienionych wyżej wskazań pozarejestacyjnych u osób dorosłych, przede wszystkim, ale nie wyłącznie, w kontroli częstotliwości rytmu serca u chorych z migotaniem przedsionków. Od czasu wydania poprzedniej opinii nie ukazały się żadne istotne publikacje mogące mieć wpływ na zmianę jej treści. Rekomendacja odnosząca się do możliwości stosowania bisoprololu w populacji dziecięcej oparta jest także na uprzedniej opinii konsultanta krajowego ds. kardiologii dziecięcej, z której wynika praktyczna zasadność jego zastosowania w tym wskazaniu.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2022 r., poz. 463), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 1285 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności dalszego finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr: OT.4221.39.2022, Aneks do raportu nr: OT.4321.39.2019, „Bisoprolol we wskazaniu

pozarejestracyjnym: tachyarytmie nadkomorowe –u pacjentów powyżej 6 r. ż.”. Data ukończenia: 15 września 2022 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 143/2022 z dnia 19 września 2022 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną
amoxicillinum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania,
lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce
Produktu Leczniczego

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną amoxicillinum we wskazaniu pozarejestracyjnym: zakażenia u pacjentów z niedoborami odporności – profilaktyka.

Uzasadnienie

Przedmiotem opinii jest ocena zasadności kontynuacji refundacji amoksycyliny we wskazaniu innym niż w ChPL. Rada Przejrzystości dwukrotnie pozytywnie opiniowała refundację amoksycyliny w tym wskazaniu.

Od wydania poprzednich opinii nie zostały opublikowane nowe przeglądy dotyczących skuteczności klinicznej i bezpieczeństwa stosowania amoksycyliny. Przeglądy odnalezione do opinii z 2014 r., wskazują na potencjalną korzyść ze stosowania amoksycyliny w profilaktyce zakażeń u wybranych pacjentów z niedoborami odporności.

Zaktualizowane wytyczne kliniczne nie wskazują amoksycyliny w tym wskazaniu. Odnośnie stosowania profilaktyki zakażeń u osób z niedoborami odporności, w rekomendacjach preferowane są fluorochinolony, ale nie wykluczają zastosowania innych antybiotyków.

Od wydania poprzedniej opinii nie pojawiły się nowe dowody naukowe wskazujące na konieczność zmiany dotychczasowego wniosku.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2022 r., poz. 463), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2021 r.,

poz. 1285 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności dalszego finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr: OT.4221.45.2022, Aneks do raportów nr: OT.4321.40.2019, OT.434.57.2016, „Amoksycylina, amoksycylina + kwas klawulanowy we wskazaniu: zakażenia u pacjentów z niedoborami odporności – profilaktyka”. Data ukończenia: 14 września 2022 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 144/2022 z dnia 19 września 2022 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancje czynne
amoxicillinum + acidum clavulanicum w zakresie wskazań do
stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż
określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancje czynne amoxicillinum + acidum clavulanicum we wskazaniu pozarejestracyjnym: zakażenia u pacjentów z niedoborami odporności – profilaktyka.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest finansowanie produktów zawierających amoksycylinę z kwasem klawulanowym w profilaktyce zakażeń u pacjentów z zaburzeniami odporności.

Zasadność stosowania produktów leczniczych zawierających amoksycylinę z kwasem klawulanowym we wnioskowanym wskazaniu była poddawana ocenie Rady Przejrzystości trzykrotnie, w roku 2014, 2016 i 2019. Wszystkie wydane opinie były pozytywne, w których podkreślono, że w świetle dostępnych danych leki zawierające wskazane substancję czynne mogą być użyteczne w profilaktyce zakażeń u osób z określonymi niedoborami odporności. W chwili obecnej preparaty zawierające amoksycylinę + kwas klawulanowy znajdują się w 4 grupach limitowych: 88.1, penicyliny półsyntetyczne doustne - stałe postacie farmaceutyczne; 88.2, penicyliny półsyntetyczne doustne - płynne postacie farmaceutyczne; 89.1, penicyliny doustne z inhibitorami betalaktamaz - stałe postacie farmaceutyczne; 89.2, penicyliny doustne z inhibitorami betalaktamaz - płynne postacie farmaceutyczne i są finansowane ze środków publicznych we wszystkich zarejestrowanych wskazaniach, a także we wskazaniach pozarejestracyjnych, tj. w zakażeniach u pacjentów z niedoborami odporności - profilaktyka. Leki refundowane w ramach grupy limitowej 88.1 są dostępne dla pacjentów za odpłatnością ryczałtową. Produkty refundowane w ramach pozostałych grup limitowych dostępne są dla pacjentów za odpłatnością 50%.

W wyniku przeprowadzonego dla potrzeb niniejszej oceny wyszukiwania zidentyfikowano nowe wytyczne dotyczące profilaktyki przeciwko infekcjom

u pacjentów poddawanych przeszczepieniu komórek macierzystych (Styczyński 2021), zalecenia Polskiego Towarzystwa Onkologii Klinicznej (PTOK) z 2020 r. dotyczące profilaktyki przeciw infekcjom u pacjentów z nowotworami, zalecenia Spanish Society of Medical Oncology (SEOM) z 2022 r. dotyczące profilaktyki infekcji u pacjentów nowotworowych oraz wytyczne panelu ekspertów Lehrnbecher z 2020 r. dotyczące profilaktyki antybakteryjnej u pediatrycznych pacjentów onkologicznych, u których przeprowadzono transplantację. Wymienione wytyczne nie odnoszą się bezpośrednio do zastosowania amoksycyliny z kwasem klawulanowym. Wskazują natomiast ogólne zasady stosowania profilaktyki przeciwinfekcyjnej u pacjentów z zaburzeniami odporności. Jediną grupą leków wymienianą wprost w zaleceniach są fluorochinolony, które mają zastosowanie w profilaktyce zakażeń u pacjentów po przeszczepieniu komórek krwiotwórczych.

Podsumowując, od chwili wydania poprzedniej opinii w roku 2019, nie pojawiły się nowe dane kliniczne, które uzasadniłyby zmianę pozytywnej opinii dotyczącej produktów zawierających amoksycylinę z kwasem klawulanowym we wnioskowanych wskazaniach.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2022 r., poz. 463), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 1285 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności dalszego finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr: OT.4221.45.2022, Aneks do raportów nr: OT.4321.40.2019, OT.434.57.2016, „Amoksycylina, amoksycylina + kwas klawulanowy we wskazaniu: zakażenia u pacjentów z niedoborami odporności – profilaktyka”. Data ukończenia: 14 września 2022 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 145/2022 z dnia 19 września 2022 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancje czynne
sulfamethoxazolum + trimethoprimum w zakresie wskazań do
stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż
określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancje czynne sulfamethoxazolum + trimethoprimum we wskazaniu pozarejestacyjnym: zakażenia u pacjentów leczonych cyklofosfamidem – profilaktyka.

Uzasadnienie

Dotychczas Rada Przejrzystości 4-krotnie pozytywnie oceniła zasadność objęcia refundacją leków zawierających sulfametoksazol i trimetoprim (SMX + TMP, kotrimoksazol) w profilaktyce zakażeń u pacjentów leczonych cyklofosfamidem (Opinie Rady Przejrzystości: nr 347/2013 z dnia 16 grudnia 2013 r., nr 321/2014 z dnia 14 listopada 2014 r., nr 343/2016 z dnia 21 listopada 2016 r., nr 342/2019 z dnia 21 października 2019 r.).

Przegląd aktualizacyjny rekomendacji klinicznych i baz danych medycznych ujawnił w czasie od ostatniej oceny Rady nowe wytyczne praktyki klinicznej (PTOK 2020) i nowe dowody naukowe, niskiej jakości, dotyczące skuteczności i bezpieczeństwa stosowania sulfametoksazolu w skojarzeniu z trimetoprimem w ramach profilaktyki zakażeń u pacjentów leczonych cyklofosfamidem (Chalkia 2019, Thomas 2019). Wyniki wyszukiwania nie zmieniają wnioskowania wynikającego z wcześniejszych analiz.

PTOK 2020 rekomenduje SMX +TMP w profilaktyce zakażeń bakteryjnych u chorych otrzymujących chemioterapię, z wysokim ryzykiem wystąpienia infekcji, w przypadku przeciwwskazań lub złej tolerancji fluorochinolonów, na równi z postacią doustną cefalosporyny III generacji. Ponadto u pacjentów poddanych allogenicznemu przeszczepieniu macierzystych komórek krwiotwórczych (allo-HCST) i przyjmujących długotrwanie duże dawki glikokortykosteroidów w przebiegu choroby przeszczep przeciwko gospodarzowi (GVHD) wytyczne wskazują możliwość intensywniejszej profilaktyki przeciwbakteryjnej ze skojarzeniem kilku antybiotyków, w tym penicyliny wraz z SMX + TMP.

*Wytyczne wskazują SMX + TMP jako postępowanie z wyboru w profilaktyce zakażeń wywołanych przez *Pneumocystis jiroveci*.*

Odnalezione retrospektywne, opisowe badania Chalkia 2019 i Thomas 2019 przedstawiają częstość występowania, czas, rodzaj i czynniki ryzyka poważnych zakażeń w zapaleniu naczyń związanych z ANCA (AAV) z zajęciem nerek oraz porównanie częstości występowania profilaktyki SMX + TMP z brakiem profilaktyki. Wyniki dowodzą, iż poważne infekcje występują częściej u chorych leczonych cyklofosfamidem w monoterapii lub w skojarzeniu z rytuksymabem. U większości pacjentów ($\geq 70\%$) zastosowana była profilaktyka z zastosowaniem sulfametoksazolu z trimetoprimem. Poważne infekcje występowały rzadziej u pacjentów otrzymujących profilaktycznie SMT + TMP.

Mając na względzie powyższe Rada uznaje za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających sulfamethoxazolum + trimethoprimum we wskazaniach pozarejestacyjnych: zakażenia u pacjentów leczonych cyklofosfamidem – profilaktyka.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2022 r., poz. 463), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 1285 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności dalszego finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr: OT.4221.40.2022, Aneks do raportu nr: OT.4321.43.2019, „Sulfamethoxazolum + Trimethoprimum we wskazaniu: zakażenia u pacjentów leczonych cyklofosfamidem–profilaktyka”. Data ukończenia: 14 września 2022 r.



Opinia Rady Przejrzystości

nr 146/2022 z dnia 19 września 2022 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną chlorambucilum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną chlorambucilum we wskazaniu pozarejestracyjnym: amyloidoza.

Uzasadnienie

Wymieniona substancja czynna została pozytywnie zaopiniowana przez Radę Przejrzystości w 2013, 2014, 2016 i w 2019 r. Nie odnaleziono nowych rekomendacji klinicznych, badań pierwotnych, ani przeglądów systematycznych dotyczących terapii chlorambucylem we wnioskowanym wskazaniu.

Nieliczne badania, obejmujące małe grupy chorych lub opisy przypadków wskazują na możliwą skuteczność chlorambucylu w zakresie zmniejszenia proteinurii w amyloidozie wtórnej, np. w przebiegu reumatoidalnego zapalenia stawów, zeszywniającego zapalenia stawów kręgosłupa, młodzieńczego zapalenia stawów, tłuszczycowego zapalenia stawów, szczególnie przy przeciwwskazaniach do cyklofosmamidu.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2022 r., poz. 463), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 1285 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności dalszego finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr: OT.4221.41.2022, Aneks do raportu nr: OT.4321.52.2019, „Chlorambucyl we wskazaniach: innych niż określone w ChPL: amyloidoza”. Data ukończenia: 13.09.2022 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 147/2022 z dnia 19 września 2022 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną
tacrolimusum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania,
lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce
Produktu Leczniczego

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną tacrolimusum we wskazaniach pozarejestacyjnych: idiopatyczny zespół nerczycowy i toczniowe zapalenie nerek.

Uzasadnienie

W opinii nr 344/2019 Rada Przejrzystości uznała za zasadne dalsze finansowanie ze środków publicznych leków zawierających substancję czynną tacrolimusum, we wskazaniach innych niż ujęte w charakterystyce produktu tj.: idiopatyczny zespół nerczycowy – w przypadku nietolerancji cyklosporyny lub oporności na cyklosporynę oraz toczniowe zapalenie nerek – w przypadku nietolerancji cyklosporyny lub oporności na cyklosporynę.

Produkty lecznicze zawierające substancję czynną tacrolimusum objęte są również refundacją we wskazaniu rejestacyjnym "stan po przeszczepie narządu unaczynionego bądź szpiku" oraz we wskazaniach pozarejestacyjnych: "stan po przeszczepie kończyny, rogówki, tkanek lub komórek" oraz "miastenia". Od czasu poprzedniej opinii z 2019 roku opublikowano 1 wytyczne dotyczące postępowania w idiopatycznym zespole nerczycowym u dzieci (niemieckie GSPN 2021) oraz 2 wytyczne dotyczące leczenia toczniowego zapalenia nerek (europejskie EULAR/ERA-EDTA 2019 oraz światowe KDIGO 2021).

Wytyczne GSPN 2021 rekomendują stosowanie takrolimusu w leczeniu często nawracającego lub steroidozależnego zespołu nerczycowego. Z kolei w leczeniu toczniowego zapalenia nerek takrolimus jest wymieniany przez wytyczne EULAR/ERA-EDTA 2019 oraz KDIGO 2021, jako terapia alternatywna zwłaszcza u pacjentów z białkomoczem nerczycowym (EULAR/ERA-EDTA 2019) oraz w przypadku nietolerancji zalecanego leczenia analogami kwasu mykofenolowego (mykofenolan mofetylu, mykofenolan sodu) lub cyklofosfamidu.

Żadne z odnalezionych wytycznych nie odnosiły się do możliwości zastosowania takrolimusu w przypadku oporności lub nietolerancji leczenia cyklosporyną.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2022 r., poz. 463), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 1285 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności dalszego finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr: OT.4221.46.2022, Aneks do raportu nr: OT.4321.42.2019, „Takrolimus we wskazaniach: idiopatyczny zespół nerczycowy – w przypadku nietolerancji cyklosporyny lub oporności na cyklosporynę; toczniowe zapalenie nerek – w przypadku nietolerancji cyklosporyny lub oporności na cyklosporynę”. Data ukończenia: 15 września 2022 r.