



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 27/2013 z dnia 4 lutego 2013
w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację
produktu leczniczego Disulone (dapson),
tabletki á 100 mg w pemfigoidzie ocznym

Rada uważa za zasadne wydawanie zgody na refundację Disulone (dapson) we wskazaniu: leczenie pemfigoidu ocznego.

Uzasadnienie

Pemfigoid oczny jest bardzo ciężką i bardzo trudną w leczeniu chorobą, prowadzącą do niepełnosprawności. Dowody o dość niskiej jakości sugerują, że dapson jest jednym z nielicznych leków, który może być skuteczny w leczeniu tej choroby.

Przedmiot wniosku

Zlecenie dotyczy zbadania zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego Disulone (dapson), tabletki á 100 mg w pemfigoidzie ocznym. Oceniany produkt leczniczy nie posiada pozwolenia na dopuszczenie do obrotu na terytorium Rzeczypospolitej Polskiej, sprowadzany z zagranicy na warunkach i w trybie określonym w art. 4 ustawy z dnia 6 września 2001 r. – Prawo farmaceutyczne (Dz. U. z 2008 r. Nr 45, poz. 271, z późn. zm.14). Zlecenie z art. 31 e ust. 1 ustawy o z dnia 24 sierpnia 2004 roku o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2008 r. Nr 164, poz.1027 z późn. zm.) oraz art. 39 ust. 3 ustawy z dnia 12 maja 2012 roku o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. Nr 122, poz.696 z późn. zm.).

Problem zdrowotny

Pemfigoid bliznowaciejący oczny to rzadka skórno-śluzówkowa choroba autoimmunologiczna, która przebiega na poziomie błony podstawnej nabłonka spojówkowego. Powoduje to powstawanie podskórnych i podnabłonkowych pęcherzy oraz bliznowaceń. Występuje samoistnie.

Opis wnioskowanej technologii medycznej

Dapson nie posiada pozwolenia na dopuszczenie do obrotu na terytorium Rzeczypospolitej Polskiej, może jednak być sprowadzany z zagranicy jeżeli jego zastosowanie jest niezbędne dla ratowania życia lub zdrowia pacjenta, na warunkach i w trybie określonym w art. 4 ustawy z dnia 6 września 2001 r. Prawo farmaceutyczne (Dz. U. z 2008 r. Nr 45, poz. 271, z późn. zm.14), tj. na podstawie zapotrzebowania, wystawianego przez szpital albo lekarza prowadzącego leczenie poza szpitalem, potwierdzone przez konsultanta z danej dziedziny medycyny. Na wniosek, Minister Zdrowia może wydać decyzję o objęciu refundacją sprowadzonego leku, na podstawie art. 39 ustawy o refundacji. Lek jest wtedy wydawany świadczeniobiorcy po wniesieniu opłaty ryczałtowej.

Dapson jest lekiem z grupy sulfonów, wykazującym działanie bakteriostatyczne i bakteriobójcze. Tradycyjnie stosuje się go w leczeniu trądu (w terapii skojarzonej), poza tym znajduje zastosowanie w DH i innych dermatozach, w profilaktyce malarii i pneumocytozy (Pneumocystis carinii pneumonia) u pacjentów z defektami immunologicznymi, zwłaszcza chorych na AIDS.



Alternatywne technologie medyczne

W opinii eksperta klinicznego obecną praktykę w leczeniu pemfigoidu ocznego stanowią steroidy miejscowe (większość pacjentów), leki immunosupresyjne np. azatiopryna, cyklofosfamid (większość), lub też leczenie chirurgiczne (10-20%).

Skuteczność kliniczna i bezpieczeństwo

W wyniku przeprowadzonego przeglądu dostępnych doniesień naukowych włączono do analizy 6 publikacji, w tym jedno randomizowane badanie kliniczne bez kontroli placebo opublikowane w 1986 roku porównujące dapson z cyklofosfamidem w leczeniu pemfigoidu ocznego w populacji 40 pacjentów. Na podstawie odnalezionych publikacji można wnioskować, że dapson może być skuteczną terapią w leczeniu pemfigoidu ocznego. W przeglądzie Saw i wsp. 2008 zamieszczono informacje, że leczenie 47% pacjentów zakończyło się powodzeniem, natomiast 30% sukcesem z pewnymi ograniczeniami. W przeglądzie Miserocchi i wsp. 2012 w populacji 61 pacjentów najczęściej stosowanym lekiem był dapson (50%). W badanej populacji uzyskano kontrolę objawów u 90% pacjentów. Autorzy przeglądu Gurcan i wsp. 2009 wskazali dapson jako najskuteczniejszy lek w terapii umiarkowanie aktywnego pemfigoidu bliznowatego oczu w porównaniu z cyklofosfamidem i azatiopryną (ogólny współczynnik odpowiedzi dapsonu stosowanego w monoterapii lub w połączeniu z kortykosteroidami lub immunosupresantami wynosił 84%). Wyniki badania randomizowanego Foster 1986 wykazują na przewagę cyklofosfamidu (100% odpowiedź na leczenie) nad dapsonem (70% odpowiedź na leczenie) w terapii pemfigoidu ocznego. Należy mieć na uwadze, że w badaniu brało udział 40 uczestników, a autorzy podkreślają, że gdyby zakwalifikować do leczenia tylko pacjentów w średnio lub nieznacznie zaawansowanym stadium choroby uzyskano by pozytywna odpowiedź na leczenie w 88% przypadków. Przeglądy Piette i wsp 2011 oraz Kirtschig i wsp. 2002 dowodzą się do publikacji Gurcan i wsp. 2009 oraz Foster 1986. W badaniu Foster 1986 u 19/20 pacjentów stwierdzono hemolizę, odnotowano spadek poziomu hemoglobiny, retikulocytozę (3-9%), nudności, wymioty, dyskomfort w obrębie jamy brzusznej (7/20 pacjentów), neuropatia obwodowa. Inne najczęściej spotykane działania niepożądane to leukopenia, uszkodzenie wątroby i nadciśnienie (Miserocchi i wsp. 2002). W badaniu Miserocchi i wsp. 2002 zauważono, że dapson jest odpowiedzialny za najmniejszą liczbę działań niepożądanych (43/61 pacjentów). W przeglądzie Gurcan i wsp. 2009 zamieszczono informację, że u 11% pacjentów leczonych dapsonem pojawiły się działania niepożądane wymagające przerwania leczenia.

Skuteczność praktyczna

Nie odnaleziono badań dokumentujących skuteczność praktyczną.

Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka

Nie dotyczy.

Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

Nie dotyczy.

Wpływ na budżet płatnika publicznego

Nie dotyczy.

Rozwiązania proponowane w analizie racjonalizacyjnej

Nie dotyczy.

Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej

Lek Disulone jest rekomendowany przez francuską HAS zarówno w początkowym jak i w późniejszym etapie pemfigoidu ocznego. Ta sama organizacja uznała w 2008 r., że lek ten należy refundować (w 65%) m.in. w leczeniu pemfigoidu.

Dodatkowe uwagi Rady

Nie dotyczy.

Biorąc pod uwagę powyższe argumenty, Rada Przejrzystości przyjęła stanowisko jak na wstępie.

[REDACTED]

[REDACTED]

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31 e ust. 1 ustawy o z dnia 24 sierpnia 2004 roku o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2008 r. Nr 164, poz.1027 z późn .zm.) w związku z art. 39 ust. 3 ustawy z dnia 12 maja 2012 roku o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. Nr 122, poz.696 z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu ws. zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego nr AOTM-DS-0431-2/2013, „Disulone (dapson), tabletki á 100 mg w pemfigoidzie ocznym”, 30 stycznia 2013.

Inne wykorzystane źródła danych, oprócz wskazanych w ww. raporcie:

1. Stanowisko eksperckie przedstawione w trakcie posiedzenia w dniu 4 lutego 2013r.