



Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 363/2014 z dnia 22 grudnia 2014 r.  
w sprawie oceny leku Adempas (riociguat) (EAN: 5908229300305)  
w ramach programu lekowego "Leczenie przewlekłego  
zakrzepowo-zatorowego nadciśnienia płucnego (CTEPH)  
(ICD-10 I27, I27.0 i/lub I26)"

*Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Adempas (riociguat), tabl. powł. 0,5 mg; kod EAN: 5908229300305, we wskazaniu: leczenie dorosłych pacjentów z nieoperowalnym CTEPH lub z przetrwałym/nawrotowym CTEPH po leczeniu chirurgicznym (klasa czynnościowa wg WHO II do III), w ramach programu lekowego "Leczenie przewlekłego zakrzepowo-zatorowego nadciśnienia płucnego (CTEPH) (ICD-10 I27, I27.0 i/lub I26)", w ramach nowej grupy limitowej i wydawanie go pacjentom bezpłatnie.*

*Analiza farmakoekonomiczna wykazała, że lek nie jest efektywny kosztowo, a jego finansowanie wiązałoby się z dużym obciążeniem finansowym dla płatnika publicznego. W związku z tym Rada stoi na stanowisku, że finansowanie wnioskowanej technologii jest możliwe jedynie po odpowiednim obniżeniu kosztu terapii do osiągnięcia efektywności kosztowej, na przykład poprzez wprowadzenie instrumentu podziału ryzyka.*

*Rada proponuje następujące zmiany do programu lekowego: 1) ciśnienie w tętnicy płucnej kwalifikujące do leczenia powinno wynosić  $\geq 25$  mmHg; 2) badania obrazujące powinny obejmować: arteriografię płucną (obligatoryjnie) oraz jedno z trzech badań (do wyboru): angio MRI, angio-CT, scyntygrafia płuc; 3) dyskwalifikacja z leczenia operacyjnego powinna być potwierdzona przez chirurga z odpowiednim doświadczeniem w przeprowadzaniu endarterektomii płucnej.*

#### **Uzasadnienie**

*Riociguat jest jedynym zarejestrowanym lekiem do leczenia przewlekłego zakrzepowo-zatorowego nadciśnienia płucnego (CTEPH) w przypadkach nieoperacyjnych oraz gdy leczenie operacyjne zakończyło się niepowodzeniem. Skuteczność kliniczną leku w populacji pacjentów ujętych we wniosku (CTEPH) oceniano w badaniu wysokiej jakości - CHEST-1. Wykazano, że 16-tygodniowa terapia lekiem prowadzi do wydłużenia dystansu przechodzonego w teście 6-minutowego marszu o 46 metrów w stosunku do grupy przyjmującej placebo,*



co stanowiło różnicę istotną statystycznie ( $p < 0.001$ ) przy zadowalającym profilu bezpieczeństwa. U osób leczonych riocyguatem wykazano także poprawę klasy czynnościowej ( $p = 0.0026$ ), jak również zmniejszenie objawów subiektywnych w skalach funkcjonalnych. Nie wykazano istotnego wpływu na przeżycie chorych. Długoterminową skuteczność leczenia potwierdzono w otwartym badaniu CHEST-2, w którym brali udział pacjenci, którzy ukończyli badanie CHEST-1.

Zastosowanie riocyguatu w CTEPH jest rekomendowane w najnowszych wytycznych ESC (2014) dotyczących leczenia nadciśnienia płucnego. Eksperti kliniczni, poproszeni o opinię w przedmiotowej sprawie, jednoznacznie wskazują na potrzebę finansowania leku w ramach programu lekowego, głównie z powodu braku innych opcji terapeutycznych w populacji pacjentów, u których nie jest możliwe przeprowadzenie leczenia operacyjnego.

Analiza farmakoekonomiczna wykazała, że lek nie jest efektywny kosztowo (ICUR = 388 245,35 PLN z perspektywy rozszerzonej), a jego finansowanie wiązałoby się z dużym obciążeniem finansowym dla płatnika publicznego (32 162 834 PLN w drugim roku refundacji w wariantcie podstawowym). W związku z tym Rada stoi na stanowisku, że finansowanie wnioskowanej technologii jest możliwe jedynie po odpowiednim obniżeniu kosztu terapii, na przykład poprzez wprowadzenie instrumentu podziału ryzyka.

.....  
Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości  
prof. Michał Myśliwiec

**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. 2011 r., Nr 122, poz. 696 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych nr AOTM-OT-4351-34/2014, „Wnioski o objęcie refundacją leków Adempas (riocyguat) w ramach programu lekowego „Leczenie przewlekłego zakrzepowo-zatorowego nadciśnienia płucnego (CTEPH) (ICD-10 I27, I27.0 i/lub I26)”, Data ukończenia: 11 grudnia 2014 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Stanowisko eksperta przedstawione w trakcie posiedzenia.