



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 26/2015 z dnia 17 marca 2015 roku

w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację leku
Rocaltrol (calcitriolum) we wskazaniach: niedoczynność przytarczyc,
krzywica hipofosfatemiczna

Rada Przejrzystości uważa za zasadne wydawanie zgody na refundację leku Rocaltrol (calcitriolum), kapsułki á 0,5 µg oraz krople á 1mg/ml, we wskazaniach: niedoczynność przytarczyc, krzywica hipofosfatemiczna przy założeniu, że wykorzystano u pacjenta dostępne alternatywne metody leczenia lub istnieją przeciwwskazania do prowadzenia terapii z użyciem takich metod.

Uzasadnienie

W wyżej wymienionych stanach stosuje się preparaty witaminy D. W Polsce obecnie dostępne są cholekalcyferol oraz alfacalcidol. Wyjątkowo, w przypadkach opornych stosuje się Calcitriol (Rocaltrol), który jest najbardziej aktywną formą witaminy D.

Niedoczynność przytarczyc to rzadka choroba, ujawniająca się czasami po urodzeniu i polegająca na upośledzeniu czynności gruczołów przytarczycznych, w następstwie czego dochodzi do niedoboru PTH. Hormon ten bierze udział w regulacji poziomu wapnia we krwi i, wraz z witaminą D oraz kalcytoniną, odpowiada za gospodarkę wapniowo-fosforanową w organizmie. Leczenie choroby jest przewlekłe, trudne (nie ma leczenia substytucyjnego; stąd stosowane jest leczenie oboczne, które nie w pełni zastępuje działanie PTH), trwa całe życie. W opinii wielu ekspertów, w tym Konsultanta Krajowego, aczkolwiek calcitriol jest wielokrotnie droższy od komparatora, którym jest analog witaminy D alfacalcidol, to jednak powinien być dostępny szczególnie dla niemowląt i małych dzieci. Calcitriol w kroplach pozwala na skuteczne i precyzyjne dawkowanie. Grupa tych chorych dzieci nie jest wielka. Ogółem eksperci ocenili, że rocznie mogłoby podlegać leczeniu ok. kilkuset dzieci, przy 20-30 nowych przypadkach rocznie. W ciągu ostatnich 3 lat wydano zaledwie 22 zgody na sprowadzenie Rocaltrolu w ramach importu docelowego. Nie odnaleziono rekomendacji i standardów postępowania w niedoczynności przytarczyc.



Krzywice hipofosfatemiczne to zespół bardzo rzadkich chorób uwarunkowanych genetycznie (ok 5 nowych pacjentów rocznie) i prowadzących do zwiększonej utraty fosforanów przez nerki. Patomechanizm chorób spowodowany jest nadmiarem fosfatonin (zaburzenie dotyczy bądź zmienionej cząsteczki FGF-23 bądź mutacji inaktywującej cząsteczki PHEX, która katabolizuje FGF-23). W konsekwencji, w organizmie występuje niedobór fosforu, którego następstwem są zaburzenia mineralizacji tkanki kostnej (krzywica). Ze względu na przebieg choroby charakteryzujący się występowaniem uszkodzenia nerek (o różnym nasileniu), calcitriol może być lepszym lekiem w porównaniu do innych preparatów witaminy D, takich jak alfacalcidol.

.....
Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości

prof. Michał Myśliwiec

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31e*ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. 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. z 2011 r. Nr 122, poz. 696 z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu skróconego ws. zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego, Raport Nr: AOTM-BP-431-27-2014, „Rocaltrol (Calcitriolum), kapsułki á 0,5 µg oraz krople á 1mg/ml we wskazaniach: niedoczynność przytarczyc, krzywica hypofosfatemiczna”, Warszawa, 11 marzec 2015 r.