



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 45/2016 z dnia 16 maja 2016 roku

w sprawie oceny leku Esbriet (pirfenidon) kod EAN: 5902768001129,
we wskazaniu: leczenie idiopatycznego włóknienia płuc

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Esbriet (pirfenidon), kaps. twarda, 267 mg, 252 szt., kod EAN 5902768001129, we wskazaniu: leczenie idiopatycznego włóknienia płuc, w ramach programu lekowego „Leczenie idiopatycznego włóknienia płuc (ICD-10 J84.1” w ramach nowej grupy limitowej, jako leku dostępnego bezpłatnie, pod warunkiem skorygowania zaproponowanego instrumentu dzielenie ryzyka i uwzględnienia w nim dawki dziennej leku, gdyż wyższa dawka leku znacznie zmniejsza efektywność kosztową.

Rada nie zgłasza uwag do zapisów projektu programu lekowego.

Uzasadnienie

Idiopatyczne (czyli samoistne - o nieznannej etiologii) włóknienie płuc (Idiopathic Pulmonary Fibrosis – IPF) jest specyficzną postacią śródmiąższowego zapalenia płuc, które przebiega z pojawieniem się (najczęściej po 60 roku życia) twardych zmian zapalno-włóknistych w obrębie najbardziej obwodowych struktur płuc. Upośledzają one wymianę gazów. Występujące zmiany patologiczne nie mają związku z innymi chorobami i ograniczone są jedynie do płuc. Postępująca duszność, częste zapalenia płuc i suchy kaszel (z towarzyszącą często niewydolnością serca) mają charakter przewlekły, a średnie przeżycie od chwili diagnozy wynosi ok. 3,5 roku, przy czym od pierwszych objawów do prawidłowego rozpoznania mija 3-4 lata. Choroba ma różny przebieg, zaś obecnie stosowane leczenie jest objawowe i mało skuteczne. Tylko 10-12% chorych przeżywa 10 lat.

Esbriet (pirfenidon) jest syntetycznym doustnym lekiem sierocym, który hamuje aktywność transformującego czynnika wzrostu TGF-beta oraz czynnika martwicy nowotworu TNF-alfa. Hamuje też proliferację fibroblastów i produkcję kolagenu.

Lek jest oceniany w intensywnych badaniach wieloośrodkowych od niedługiego czasu, stąd dzisiaj dostępne dane są z okresu obserwacji trwającego



niż podają dane retrospektywne.

Dość mocne dowody naukowe potwierdzają, że pirfenidon po rocznej kuracji również znacząco spowolniał spadek FVC oraz poprawiał wydolność fizyczną, co przekładało się na zwiększenie średnio o 25 metrów długości marszu chorego. Lek jest drogi i ma liczne, niekiedy poważne objawy niepożądane (nudności, kaszel, zaburzenia żołądkowo-jelitowe, wysypki itp.), które czasami zmuszają nawet do przerwania terapii. Jego kilkuletnie stosowanie nie prowadzi do wyleczenia, tylko do zmniejszenia niektórych objawów i opóźnienia z reguły śmiertelnej choroby.

Przez amerykańską FDA lek został uznany jako „obiecujący” i dopuszczony do stosowania u chorych, ale wymagający dalszych i dłuższych badań klinicznych – w szczególności na pacjentach rasy białej, u których dawkowanie pirfenidonu wymaga większych dawek. Eksperti kliniczni oraz europejskie towarzystwa lekarskie zalecają stosować lek wstępnie i warunkowo jedynie w łagodnej i umiarkowanej postaci IPF, gdyż chorzy nie mają innej, skutecznej alternatywy leczniczej. Z tego powodu mimo wysokiej ceny, Esbriet jest refundowany w wielu krajach europejskich, w tym kilku o podobnym do Polski PKB per capita. W Polsce szacuje się, że lek może zacząć stosować kilkuset chorych rocznie, co wzrostowo w ciągu 4 lat spowoduje wzrost wydatków NFZ z [redacted] milionów do dwudziestu kilku milionów złotych.

Brak finansowania tego leku sierociego generuje duże nieuwzględnione koszty dla systemu (zasiłki, renty, hospitalizacje).

Z powyższych powodów Rada przyjęła stanowisko jak wyżej.

.....
Przewodniczący Rady Przejrzystości
prof. Tomasz Pasierski

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 2015 r., poz. 345 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr OT.4351.9.2016 „Wniosek o objęcie refundacją leku Esbriet (pirfenidon) we wskazaniu: Leczenie idiopatycznego włóknienia płuc (ICD-10 J84.1)”. Data ukończenia: 6 maja 2016 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 2014, poz. 782 z późn. zm.) w zw. z art. 11 ust. 4 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2003 r., Nr 153, poz. 1503 z późn. zm.).

Organ dokonujący wyłączenia jawności: Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji.

Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Roche Polska Sp. z o.o.