



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 241/2016 z dnia 8 sierpnia 2016 roku
w sprawie objęcia refundacją leku Noxafil (posaconazolium)
w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania,
lub sposobu podawania odmiennych niż określone
w Charakterystyce Produktu Leczniczego

Rada Przejrzystości uważa za niezasadne objęcie refundacją Noxafil (posaconazolium), zawiesina doustna 40 mg/ml, 105 ml, kod EAN: 5909990335244, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego określonych tj:

1. w ramach listy aptecznej:

- ostra białaczka limfoblastyczna u dzieci do 18 roku życia, wtórna profilaktyka przeciwgrzybicza, ukierunkowana na wcześniej występujące zakażenia grzybicze - do czasu zakończenia chemioterapii,*
- chłoniaki złośliwe u dzieci do 18 roku życia, wtórna profilaktyka przeciwgrzybicza, ukierunkowana na wcześniej występujące zakażenia grzybicze - do czasu zakończenia chemioterapii,*
- nowotwory łagodne u dzieci do 18 roku życia, wtórna profilaktyka przeciwgrzybicza, ukierunkowana na wcześniej występujące zakażenia grzybicze - do czasu zakończenia chemioterapii,*

2. w chemioterapii:

- ostra białaczka limfoblastyczna standardowego lub pośredniego ryzyka – u dzieci do 18 roku życia,
- otrzymujących chemioterapię mogącą powodować długotrwałą neutropenię i u których jest duże ryzyko rozwoju inwazyjnych zakażeń grzybiczych lub,
- wtórna profilaktyka przeciwgrzybicza, ukierunkowana na wcześniej występujące zakażenia grzybicze - do czasu zakończenia chemioterapii,*
- chłoniaki złośliwe - u dzieci do 18 roku życia,*



- otrzymujących chemioterapię mogącą powodować długotrwałą neutropenię i u których jest duże ryzyko rozwoju inwazyjnych zakażeń grzybiczych lub,
- wtórna profilaktyka przeciwgrzybicza, ukierunkowana na wcześniej występujące zakażenia grzybicze - do czasu zakończenia chemioterapii,
- nowotwory lite - u dzieci do 18 roku życia,
 - otrzymujących chemioterapię mogącą powodować długotrwałą neutropenię i u których jest duże ryzyko rozwoju inwazyjnych zakażeń grzybiczych lub,
 - wtórna profilaktyka przeciwgrzybicza, ukierunkowana na wcześniej występujące zakażenia grzybicze - do czasu zakończenia chemioterapii.

Jednocześnie Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją Noxafil (posaconazolium), zawiesina doustna 40 mg/ml, 105 ml, kod EAN: 5909990335244, w zakresie powyższych wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, u dzieci powyżej 13 roku życia z nietolerancją na flukonazol lub/i itrakonazol.

Uzasadnienie

Noxafil jest lekiem przeciwgrzybiczym i jego skuteczność nie jest bezpośrednio uzależniona od pierwotnej jednostki chorobowej. FDA, rejestrując lek, zamiast odwoływać się do poszczególnych jednostek chorobowych, w przebiegu których może dojść do wystąpienia zakażenia grzybiczego, uwzględnił populację pacjentów powyżej 13 r.ż., znajdujących się w grupie wysokiego ryzyka wystąpienia zakażeń grzybiczych, ze względu na ciężkie niedobory odporności.

Zlecenia na wykonanie oceny zasadności zastosowania leku Noxafil dotyczyły kilku pokrewnych i nachodzących na siebie wskazań pozarejestacyjnych, np. pacjenci po przeszczepie komórek krwiotwórczych, która jest metodą leczenia większości nowotworów o podłożu hematologicznym. Ponadto wskazania dotyczące ostrej białaczki limfoblastycznej są już częściowo finansowane w ramach katalogu chemioterapii (załącznik C.0.14.b).

Ze względu na brak (chłoniaki złośliwe i nowotwory lite) lub niski (ALL) poziom przedstawionych dowodów (opisy przypadków), ocena skuteczności klinicznej pozakonazolu we wnioskowanych wskazaniach jest obarczona dużą niepewnością.

W odnalezionych rekomendacjach nie odnaleziono oddzielnych zaleceń dla pacjentów pediatrycznych z chłoniakami złośliwymi i nowotworami litymi. Należy jednak zwrócić uwagę, iż w trakcie leczenia chłoniaków złośliwych (podobnie jak większości nowotworów hematologicznych) stosuje się przeszczep krwiotwórczych komórek macierzystych krwi.

Dowody naukowe słabej jakości oraz rekomendacje kliniczne potwierdzają opcjonalną wartość terapeutyczną posaconazolu we wnioskowanym wskazaniu u dzieci powyżej 13 r.ż.

Ze względu na wysoką cenę produktu leczniczego, należy rozważyć obniżenie ceny leku lub wprowadzenie skutecznych mechanizmów dzielenia ryzyka.

Przedmiot zlecenia

Zlecenie Ministra Zdrowia, zawarte w piśmie PLA.4600.140.2016.2.ISU z dnia 25.07.2016r., zmodyfikowane pismem PLA.4600.140.2016.3.ISU z dnia 27.07.2016r., dotyczyło wydania opinii Rady Przejrzystości w sprawie wydania z urzędu decyzji o objęci refundacją Noxafil (posaconazolium), zawiesina doustna 40 mg/ml, 105 ml, kod EAN: 5909990335244, przy danych klinicznych, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania lub sposobu podawania odmiennych niż w Charakterystyce Produktu Leczniczego.

.....
Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości
prof. Rafał Suwiński

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2015 r. poz. 581 z późn. zm.)

Wykorzystane źródła danych:

1. Opracowanie na potrzeby oceny zasadności dalszego finansowania ze środków publicznych leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego, Raport nr: OT.434.43.2016, „Noxafil, posaconazolium we wskazaniach off-label”. Data ukończenia: 4 sierpnia 2016 r.