



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 4/2017 z dnia 9 stycznia 2017 roku
w sprawie oceny leku Synagis (palivizumabum),
kod EAN: 8054083006109, we wskazaniu: zapobieganie ciężkiej
chorobie dolnych dróg oddechowych wywołanej wirusem RS u dzieci
z istotną hemodynamicznie, wrodzoną wadą serca

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Synagis (palivizumabum), roztwór do wstrzykiwań, 100 mg/ml, 1 ml, kod EAN: 8054083006109, w ramach programu lekowego, we wskazaniu: zapobieganie ciężkiej chorobie dolnych dróg oddechowych wywołanej wirusem RS u dzieci z istotną hemodynamicznie, wrodzoną wadą serca w ramach istniejącej grupy limitowej, jako leku wydawanego pacjentom bezpłatnie, pod warunkiem zapewnienia efektywności kosztowej.

Rada Przejrzystości uważa, że projekt programu powinien zostać uzupełniony o informacje: o minimalnej efektywnej liczbie dawek, zasadności kontynuacji podaży paliwizumabu w kolejnym sezonie u tego samego dziecka, czy liczby dawek, które należy podać po operacji serca. Jednocześnie Rada uznaje proponowany instrument dzielenia ryzyka za niewystarczający i proponuje własne rozwiązanie.

Uzasadnienie

Paliwizumab jest humanizowanym, monoklonalnym przeciwciałem klasy IgG1κ, (zbudowanym z sekwencji ludzkich i mysich przeciwciał), które poprzez związanie się z antygenowym miejscem A białka fuzyjnego syncytialnego wirusa oddechowego (RSV) powoduje blokadę połączenia się wirusa z komórką organizmu, zapobiegając zakażeniu.

Śmiertelność niemowląt z powodu zakażenia RSV wynosi 2-3%, ale u dzieci z grup ryzyka może być większa. W przypadku niemowląt z hemodynamicznie istotnymi wadami serca, w zależności od źródła, śmiertelność szacowana jest na 5,2%.

Ze względu na brak skutecznych metod leczenia zakażeń RSV jedynym sposobem uzyskania kontroli nad infekcją RSV (w tym zapobieganie powikłaniom) jest profilaktyka. Tutaj jedynym dostępnym preparatem stosowanym w profilaktyce zakażeń RSV jest paliwizumab.



Lek jest stosowany od kilkunastu lat. Dostępne dowody naukowe wskazują na skuteczność, jak również na względne bezpieczeństwo stosowania paliwizumabu w zapobieganiu ciężkiej chorobie dolnych dróg oddechowych wywołanej wirusem RS. Sezonowe (od października do kwietnia) podawanie leku w comiesięcznych odstępach (do 5x) przyczynia się do istotnej redukcji zarówno zakażeń, jak i ciężkich powikłań, zmniejszając wybitnie okresy hospitalizacji.

W ostatnich kilku latach, szczególnie w USA, gdzie opierając się na szerokich danych epidemiologicznych z kilku stanów, mocno ograniczono wskazania do podawania leku zdrowym wcześniakom, praktycznie ograniczając profilaktykę do bardzo chorych niemowląt.

Zgodnie z tym trendem, Synagis jest obecnie refundowany w ramach programu lekowego „Profilaktyka zakażeń wirusem RS przy wykorzystaniu produktu leczniczego paliwizumab (Synagis)”, realizowanego jako świadczenie gwarantowane dla populacji niemowląt z przewlekłą chorobą płuc, które nie ukończyły 3 miesiąca życia w chwili rozpoczęcia sezonu infekcyjnego RSV i ich wiek ciążowy był poniżej 30 tygodnia oraz dla populacji niemowląt z przewlekłą chorobą płuc, które nie ukończyły 6 miesiąca życia w chwili rozpoczęcia sezonu infekcyjnego RSV i ich wiek ciążowy był poniżej 28 tygodnia.

Obecne zlecenie dotyczy programu lekowego „Zapobieganie ciężkiej chorobie dolnych dróg oddechowych wywołanej wirusem RS u dzieci z istotną hemodynamicznie wrodzoną wadą serca (ICD-10 Q20-Q24)”, w ramach którego lek otrzymują dzieci poniżej jednego roku życia z jawną niewydolnością serca, utrzymującą się pomimo leczenia farmakologicznego, z umiarkowanym i ciężkim pierwotnym nadciśnieniem płucnym oraz z sinicznymi wadami serca, z przezskórnym utlenowaniem krwi tętnicznej <80%. Włączenie chorego dziecka do programu wymaga opinii konsultanta wojewódzkiego w dziedzinie kardiologii dziecięcej w porozumieniu z konsultantem krajowym w dziedzinie kardiologii dziecięcej na podstawie dokumentacji z ośrodka prowadzącego leczenie.

Rada Przejrzystości zwraca jednak uwagę na brak zapisów w powyższym programie lekowym dotyczących: minimalnej efektywnej liczby dawek, zasadności kontynuacji podaży paliwizumabu w kolejnym sezonie u tego samego dziecka, czy liczby dawek, które należy podać po operacji serca.

Została zmieniona formuła leku, który obecnie jest w ampułkach już rozpuszczony, co jest zaletą. Poprzedni wymagał przed podaniem dodania załączonego rozpuszczalnika.

W opinii eksperta-kardiologa dziecięcego liczba dzieci odpowiadająca tym powyższym kryteriom, które będą wymagać podawania leku paliwizumab, wynosi ok. 150 rocznie.

Wszyscy eksperci zalecają stosowanie profilaktyki przeciwciałami monoklonalnymi anty RSV u dzieci z istotną hemodynamicznie wrodzoną wadą serca.

Infekcja RSV bardzo często związana jest z koniecznością hospitalizacji na oddziale intensywnej terapii, co może opóźnić ratującą życie operację kardiologiczną oraz przyczynić się do pogorszenia stanu zdrowia dziecka. Zwrócono uwagę, że w okresie rekonwalescencji pooperacyjnej, w okresie obniżonej odporności organizmu, zakażenie może być bardzo niebezpieczne dla zdrowia i życia dziecka z wrodzoną wadą serca. W większości krajów Europy profilaktyka przeciwko RSV jest prowadzona u wszystkich dzieci z wrodzoną hemodynamicznie istotną wadą serca.

Rada Przejrzystości zwraca uwagę na zbyt wysoki koszt terapii paliwizumabem w stosunku do obserwowanych efektów klinicznych oraz na fakt, że wyniki badań nad efektami stosowania paliwizumabu mogą być przestarzałe i przez to mniej wiarygodne, biorąc pod uwagę postępy w opiece nad noworodkami. Jest prawdopodobne, że w następnych kilku latach wskazania do podawania leku zostaną jeszcze bardziej ograniczone.

Paliwizumab jest refundowany w 10 krajach Unii Europejskiej – w tym w 3 krajach o podobnym do Polski PKB per capita.

Rada uważa zaproponowany RSS za niewystarczający i proponuje obniżenie koszty leku i capping.

W związku z powyższym 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 z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2016 r., poz. 1536 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr OT.4351.36.2016 „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu leku Synagis (paliwizumab) we wskazaniu: zapobieganie ciężkiej chorobie dolnych dróg oddechowych wywołanej wirusem RS u dzieci z istotną hemodynamicznie wrodzoną wadą serca (ICD-10 Q20-Q24)”, data ukończenia: 30 grudnia 2016 r.