



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 128/2017 z dnia 22 maja 2017 roku
w sprawie oceny wprowadzenia zmian
w dotychczasowym opisie programu lekowego:
„Leczenie Choroby Leśniowskiego-Crohna (Chlc)”

Rada Przejrzystości uważa za zasadne wprowadzenie następujących zmian w dotychczasowym opisie programu lekowego „Leczenie Choroby Leśniowskiego-Crohna (Chlc)”:

- 1. Pacjent, u którego zaprzestano podawania infliksymabu, zastosowanego zgodnie z zapisami programu z powodu uzyskania remisji, u którego wystąpiło zaostrzenie, jest włączany do leczenia w ramach programu,*
- 2. W ramach programu nie dopuszcza się możliwości ponownej kwalifikacji do terapii infliksymabem, jeżeli pacjent był w przeszłości leczony nieskutecznie,*
- 3. Do programu może być ponownie włączony pacjent, u którego zaprzestano podawania substancji czynnej wymienionej w programie i zastosowanej zgodnie z jego treścią z powodu wystąpienia działań niepożądanych, które ustąpiły po odstawieniu leku bądź zastosowanym leczeniu i w opinii lekarza prowadzącego powrót do terapii tą samą substancją czynną nie stanowi ryzyka dla pacjenta.*

Kryteria ponownego włączenia do programu (adalimumab) – populacja pediatryczna:

- 1. Pacjent, u którego zaprzestano podawania adalimumabu, zastosowanego zgodnie z zapisami programu z powodu uzyskania remisji, u którego wystąpiło zaostrzenie, jest włączany do leczenia w ramach programu,*
- 2. W ramach programu nie dopuszcza się możliwości ponownej kwalifikacji do terapii adalimumabem, jeżeli pacjent był w przeszłości leczony nieskutecznie,*
- 3. Do programu może być ponownie włączony pacjent, u którego zaprzestano podawania substancji czynnej wymienionej w programie i zastosowanej zgodnie z jego treścią z powodu wystąpienia działań niepożądanych, które ustąpiły po odstawieniu leku bądź zastosowanym leczeniu i w opinii*



lekarza prowadzącego powrót do terapii tą samą substancją czynną nie stanowi ryzyka dla pacjenta.

Uzasadnienie

Proponowane w programie zmiany dotyczące możliwości ponownego włączenia do programu leczenia infliksymabem lub adalimumabem chorych, u których doszło do nawrotu choroby lub u których wystąpiły przemijające działania niepożądane, nie stanowiące w opinii lekarza prowadzącego przeciwwskazania do podjęcia kolejnej próby terapii, są zasadne.

Wartość progowa wskaźnika aktywności PCDAI wymaga uściślenia ze względu na podawane w piśmiennictwie różne wartości progowe.

Wartość niekorygowanego wskaźnika PCDAI 12.5 ma, wg niektórych autorów, istotnie mniejszą, od wartości PCDAI 10.0, swoistość w odniesieniu do rozpoznawania aktywnej postaci choroby (Hyams J, i wsp. *Pediatric Inflammatory Bowel Disease Collaborative Research Group. Evaluation of the Pediatric Crohn Disease Activity Index: a prospective multicenter experience. J Pediatr Gastroenterol Nutr.* 2005;41:416-21). Wskazywana w programie wartość progowa 12.5 wydaje się odnosić do ważonego wskaźnika PCDAI (Turner D, Griffiths AM, Walters TD, et al. *Mathematical weighting of the pediatric Crohn's disease activity index (PCDAI) and comparison with its other short versions. Inflamm Bowel Dis* 2012;18:55-62). Wartość 12.5 dla wskaźnika nieważonego odnosi się do jego zmiany w trakcie leczenia, definiującego odpowiedź kliniczną.

Wartości ważonego wskaźnika definiującego ciężką, czynną postać choroby Leśniowskiego-Crohna wynoszą dla wyniku w skali CDAI powyżej 300 punktów. W przypadku skali PCDAI wartości wskaźnika ważonego i nieważonego dla rozpoznania ciężkiej postaci choroby są różne. Proponowana przez eksperta wartość progowa >40 wydaje się odnosić do wskaźnika nie korygowanego. Dla PCDAI ważonego określona jest na >57.5 (Kammermeier J, i wsp. *Management of Crohn's disease. Arch Dis Child.* 2016;101:475-80.). Należy odnotować, że przedziały ufności zarówno dla diagnostycznych progów CDAI, jak i PCDAI są stosunkowo szerokie (Otley A, i wsp. *Assessing activity of pediatric Crohn's disease: which index to use? Gastroenterology.* 1999;116:527-31.).

Podsumowując, Rada proponuje przyjęcie ujednoliczonego wskaźnika PCDAI (ważonego lub nieważonego). Proponowane dla nieważonego wskaźnika PCDAI wartości progowe dla nawrotu/zaostżenia to >10 punktów, a dla ciężkiej postaci choroby >40 punktów. Dla wskaźnika ważonego proponowane wartości to odpowiednio >12.5 i >57.5.

Przedmiot zlecenia

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt. 4 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2016 r., poz. 1793 z późn. zm.), w nawiązaniu do zlecenia Ministra Zdrowia, zawartego w piśmie 931082.PB z dnia 14.04.2017 r.

.....

Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości
prof. Rafał Suwiński

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt. 4 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2016 r., poz. 1793 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania, nr OT.434.14.2017, „Opracowanie dotyczące oceny zasadności wprowadzenia zmian w dotychczasowym opisie programu lekowego: »Leczenie choroby Leśniowskiego-Crohna (Chlc)«”. Data ukończenia: 17.05.2017 r.