



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

**Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 152/2017 z dnia 11 grudnia 2017 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku
Sulfadiazin-Heyl (sulfadiazinum) we wskazaniach: toksoplazmoza
wrodzona, toksoplazmoza oczna, toksoplazmoza OUN
w przebiegu zakażenia HIV**

Rada Przejrzystości uważa za zasadne wydawanie zgód na refundację, w ramach importu docelowego, leku Sulfadiazin-Heyl (sulfadiazinum), tabletki á 500 mg we wskazaniach: toksoplazmoza wrodzona, toksoplazmoza oczna, toksoplazmoza OUN w przebiegu zakażenia HIV.

Uzasadnienie

Problem kliniczny i terapeutyczny

*Toksoplazmoza spowodowana pierwotniakiem *Toxoplasma gondii* jest jedną z najczęstszych infekcji pasożytniczych u ludzi, dotykającą co najmniej połowy populacji ogólnej, która u osób immunokompetentnych kończy się odpornością śródzakaźną. Wskazania wg wniosku obejmują rzadko występujące postaci toksoplazmozy wymagające interwencji terapeutycznej. Toksoplazmoza wrodzona jest zazwyczaj skutkiem pierwszego kontaktu kobiety z pasożytem w okresie ciąży. Ryzyko zarażenia rośnie wraz z trwaniem ciąży, podczas gdy stopień nasilenia zmian patologicznych u płodu jest odwrotnie proporcjonalny do momentu ciąży, w którym doszło do zarażenia matki. Zakażenie w pierwszym trymestrze występuje rzadko, ale zwykle prowadzi do poronienia lub wewnątrzmacicznego obumarcia płodu. Zakażenie w drugim trymestrze skutkuje powstaniem ciężkich uszkodzeń rozwojowych dotyczących przede wszystkim ośrodkowego układu nerwowego. Zakażenie w późniejszym etapie ciąży prowadzi do rozwoju, nawet w wiele lat później, toksoplazmozy ocznej, której objawami są zapalenie gałki ocznej oraz rozwój trwałych ubytków w polu widzenia, niedowidzenia i ślepoty. Toksoplazmoza u pacjentów w przebiegu zakażenia HIV, wywołana upośledzeniem odporności i niekontrolowanym namnażaniem się pasożyta, powoduje niewydolność wielonarządową i zaburzenia neurologiczne.*



Dowody naukowe

Sulfadiazynę wprowadzono do lecznictwa w 1941r. Lek Sulfadiazin-Heyl (sulfadiazinum) w Polsce nie był i nie jest zarejestrowany, ale w 2002 r. był dopuszczony okresowo do obrotu bez konieczności uzyskania pozwolenia. Zgodnie z aktualną charakterystyką produktu leczniczego w kraju producenta jedynym zastosowaniem Sulfadiazin-Heyl jest leczenie toksoplazmozy (ostrej i nawrotowej) w kombinacji z pirymethaminą. Nie jest dostępna inna technologia medyczna, która w przypadkach toksoplazmozy wymagających leczenia byłaby równie efektywna w dłuższym okresie, jak sulfadiazyna w terapii skojarzonej z pirymetaminą. Sulfadiazyna może być krótkotrwale zastąpiona przez klindamycynę, również podawaną w skojarzeniu z pirymetaminą. W wymagających leczenia postaciach toksoplazmozy powikłania związane z zastosowaniem Daraprimu i sulfadiazyny są mniej niebezpieczne dla pacjentów niż skutki nieleczonej aktywnej infekcji.

Problem ekonomiczny

Dane epidemiologiczne dotyczące występowania postaci toksoplazmozy wymagających leczenia produktami leczniczymi sulfadiazinum i pirymethaminum, oraz dane o dotychczasowym faktycznym użyciu produktu leczniczego Sulfadiazin-Heyl wskazują, że liczba pacjentów wymagających leczenia z powodu aktywnej postaci toksoplazmozy wynosić będzie ok. 125 rocznie.

Główne argumenty decyzji

Nie jest znana inna technologia medyczna, która w przypadkach toksoplazmozy wymagających leczenia byłaby równie efektywna w dłuższym okresie, jak pirymetamina w terapii skojarzonej z sulfadiazyną. W wymagających leczenia postaciach toksoplazmozy powikłania związane z zastosowaniem Daraprimu i sulfadiazyny są mniej niebezpieczne dla pacjentów niż skutki nieleczonej aktywnej infekcji. Sulfadiazyna może być krótkotrwale zastąpiona przez klindamycynę, również podawaną w skojarzeniu z pirymetaminą. Całkowite zastąpienie lub wyparcie sulfadiazyny klindamycyną nie jest jednak możliwe, z uwagi na konieczność prowadzenia długotrwałej terapii przeciwpasożytnej

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2017 r., poz. 1938 z późn. zm.), w związku z art. 39 ust. 3 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 opracowania na potrzeby

oceny zasadności wydawania zgody na refundację, raportów nr OT.4311.1.2017 i OT.4311.2.2017 „Daraprim (pirymethaminum) i Sulfadiazin-Heyl (sulfadiazinum) we wskazaniach: toksoplazmoza wrodzona, toksoplazmoza oczna, toksoplazmoza ośrodkowego układu nerwowego w przebiegu zakażenia HIV”. Data ukończenia: 7 grudnia 2017 r.