



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 49/2018 z dnia 14 maja 2018 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku
Hydroxocobalamine (hydroxycobalamine acetate) w różnych
wskazaniach

Rada Przejrzystości uważa za zasadne wydawanie zgód na refundację leku Hydroxocobalamine (hydroxycobalamine acetate), roztwór do wstrzykiwań, ampułka á 1 mg/ml oraz 10 mg/2 ml we wskazaniach: acyduria metylomalonowa z wrażliwością na kobalaminę, zaburzenia metabolizmu kobalaminy oraz hiperhomocysteinemia związana z deficytem kobalaminy G.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Zasadność wydawania zgody na refundację w ramach importu docelowego Hydroxocobalamine (hydroxycobalamine acetate) we wskazaniach: acyduria metylomalonowa z wrażliwością na kobalaminę, zaburzenia metabolizmu kobalaminy, hiperhomocysteinemia związana z deficytem kobalaminy G, na podstawie art. 39 ust. 3 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2017 r. poz. 1844) . Hydroxocobalamine w ocenianych wskazaniach nie był przedmiotem oceny w Agencji. W latach 2016-2018 został sprowadzony w ramach importu docelowego we wskazaniu acyduria metylomalonowa z wrażliwością na kobalaminę, zaburzenia metabolizmu kobalaminy, hiperhomocysteinemia z deficytem kobalaminy G. Z otrzymanych danych wynika, że w latach 2016-2018 (luty) sprowadzono łącznie 565 opakowań leku Hydroxocobalamine na łączną kwotę 36 242,75 zł we wskazaniu acyduria metylomalonowa z wrażliwością na kobalaminę.

Natomiast we wskazaniach:

- *zaburzenia metabolizmu kobalaminy (2 wnioski),*
- *hiperhomocysteinemia związana z deficytem kobalaminy G (1 wniosek),*

do Ministra Zdrowia wpłynęły łącznie 3 wnioski dotyczące produktu Hydroxocobalamine i do dnia otrzymania przez Agencję przedmiotowego zlecenia Minister Zdrowia nie wydał rozstrzygnięcia w zakresie refundacji ww. produktu leczniczego.



Dowody naukowe

Odnaleziono jedno badanie RCT skuteczności klinicznej hydroksykobalaminy, (Torsvik 2013) dla wskazania zaburzenia metabolizmu kobalaminy, które włączono do analizy. Nie odnaleziono badań klinicznych spełniających kryteria włączenia do analizy we wskazaniach: acyduria metylomalonowa z wrażliwością na kobalaminę oraz hiperhomocysteinemia związana z deficytem kobalaminy G.

Nieliczne dowody naukowe potwierdzają skuteczność hydroksykobalaminy we wnioskowanych wskazaniach. Wiadomo jednak, że terapia tych wrodzonych wad metabolizmu jest najczęściej terapią złożoną, której jednym z elementów jest podawanie hydroksykobalaminy. U pacjentów z chorobami odpowiadającymi na hydroksykobalaminę, podaż hydroksykobalaminy (parenteralna) jest leczeniem z wyboru i nie jest zastępowalna postępowaniem dietetycznym lub- innym niż hydroksykobalaminą – farmakologicznym. Znajduje to odzwierciedlenie w większości międzynarodowych rekomendacji klinicznych. Odnaleziono 6 rekomendacji klinicznych towarzystw/agencji HTA, w tym dwie z nich (europejskie EHOD 2017 oraz brytyjskie BSH 2014) dotyczą leczenia zaburzeń metabolizmu kobalaminy oraz hiperhomocysteinemii, a pozostałe 4 (brytyjskie BIMDG 2015,2017 i NCoMP 2013 oraz międzynarodowe GDG 2014) dotyczą leczenia acydurii metylomalonowej. Wszystkie odnalezione wytyczne wymieniają hydroksykobalaminę w leczeniu zaburzeń metabolizmu kobalaminy oraz acydurii metylomalonowej z wrażliwością na kobalaminę.

Za koniecznością stosowania hydroksykobalaminy we wnioskowanych wskazaniach opowiedzieli się wszyscy eksperci.

Problem ekonomiczny

Brak jest wiarygodnych danych pozwalających oszacować populację chorych na acydurię metylomalonową z wrażliwością na kobalaminę, zaburzenia metabolizmu kobalaminy, oraz hiperhomocysteinemię związaną z deficytem kobalaminy G, u której Hydroxocobalamine mógłby być zastosowany, tym samym oszacowanie wpływu decyzji pozytywnej na wydatki płatnika nie jest możliwe. W latach 2016-2018 zgody na refundację wnioskowanego produktu otrzymało 6 pacjentów ze wskazaniem acyduria metylomalonowa z wrażliwością na kobalaminę. Wnioski dotyczące refundacji w/w produktu dla 3 pacjentów z zaburzeniami metabolizmu kobalaminy oraz hiperhomocysteinemią z deficytem kobalaminy G czekają na rozpatrzenie.

Z uwagi na brak danych o populacji docelowej, niemożliwe jest oszacowanie wpływu sfinansowania przedmiotowej technologii w ramach importu docelowego na wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorców.

Główne argumenty decyzji

Stosowanie Hydroxocobalamine w acydurii metylomalonowej z wrażliwością na kobalaminy, zaburzeniach metabolizmu kobalaminy, hiperhomocysteinemii związanej z deficytem kobalaminy G znajduje uzasadnienie w praktyce klinicznej i opiniach ekspertów. Hydroxocobalamine acetate jest jedyną postacią kobalaminy, która wykazuje aktywne działanie w organizmie człowieka. W niektórych wrodzonych wadach metabolizmu, jak np.: w acydurii metylomalonowej kobalaminozależnej, czy zaburzeniach wewnątrzkomórkowego metabolizmu kobalaminy, stosowanie tej postaci witaminy B12 nie jest zwykłą suplementacją witaminową, a leczeniem z wyboru. Stosowanie Hydroxocobalamine umożliwia uzyskanie lepszego wyrównania metabolicznego u pacjentów, co prowadzi do poprawy ich jakości życia i rokowania na przyszłość. Dla niektórych pacjentów hydroksykobalamina jest konieczna dla ich przeżycia. Skutek finansowy możliwy do oceny jest niewielki.

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 nr: OT.4311.15.2018 „Hydroxocobalamine (hydroxocobalamine acetate) we wskazaniach: acyduria metylomalonowa z wrażliwością na kobalaminy, zaburzenia metabolizmu kobalaminy, hiperhomocysteinemia związana z deficytem kobalaminy G”. Data ukończenia: 9 maja 2018.