



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 101/2018 z dnia 7 maja 2018 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Exjade (deferasirox) we wskazaniu: zespoły mielodysplastyczne (ICD10: 46)

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Exjade (deferasirox), 500 mg tabletki do sporządzania zawiesiny doustnej, we wskazaniu: zespoły mielodysplastyczne (ICD10: 46).

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Zespoły mielodysplastyczne (MDSs) są to zaburzenia hematopoezy charakteryzujące się obwodową cytopenią, zaburzoną hematopoezą i zwiększonym ryzykiem progresji do ostrej białaczki mieloblastycznej (AML). Zapadalność na MDS w grupie powyżej 80 r. ż wynosi 36 na 100 000 i jest to dość częsta przyczyna niedokrwistości w wieku podeszłym. Leczenie hematologiczne obejmuje inhibitory dnmt i przeszczep allogeniczny szpiku. Leczenie zachowawcze w tej grupie chorych polega na częstych przetoczeniach preparatów kkc. Wskazaniami do przetoczenia jest hematokryt < 24%. Terapia chelatująca żelazo wskazana jest u wybranych pacjentów, gdyż nie wykazano jej korzystnego wpływu na przeżycie w RCT (Med Clin N Am 101 (2017) 333–350).

Z drugiej jednak strony wytyczne brytyjskie stwierdzają, że nie można rutynowo zalecać leczenia chelatującego u pacjentów z MDS z przeciętnym żelazem wywołanym transfuzjami krwi [Poziom rekomendacji - 1C].

Można rozważyć terapię chelatującą u pacjentów z bardzo dobrym rokowaniem, szczególnie u pacjentów z niedokrwistością oporną na leczenie (RA), niedokrwistością oporną na leczenie z obecnością pierścieniowatych syderoblastów (RARS) i izolowanym del (5q). Preparaty chelatujące mogą być stosowane u pacjentów z przewidywaną ciężką transfuzją krwinek czerwonych, którzy otrzymują więcej niż 20 jednostek krwinek czerwonych, u których stężenie ferrytyny w surowicy krwi wynosi > 1000 lg/l [Poziom rekomendacji - 2C].



Skuteczność kliniczna i praktyczna

Exjade (deferazyrox) jest doustnym lekiem chelatującym żelazo. Dotychczasowe badania wykazały, że jest on skuteczny oraz dobrze tolerowany w terapii leczenia gromadzenia żelaza u chorych z MDS poddawanych licznym przetoczeniem kkc.

Bezpieczeństwo stosowania

Bardzo duże.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Korzyści zdrowotne są aktualnie niemierzalne, a ryzyko stosowania wydaje się małe.

Konkurencyjność cenowa

Alternatywnie stosowana deferoksamina jest znacznie tańsza.

Wpływ na wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorców

Maksymalna liczba pacjentów, którzy mogliby otrzymać wnioskowaną technologię, jest trudna do szacowania. Przy założeniu konserwatywnym przyjętym w analizie AOTMiT [REDAKTOWANE], całkowity koszt leczenia (przy schemacie składającym się z 3 cykli) wyniesie [REDAKTOWANE], natomiast roczny koszt leczenia deferazyroksiem wyniesie [REDAKTOWANE].

Alternatywna technologia medyczna, w rozumieniu ustawy o świadczeniach, oraz jej efektywność kliniczna i bezpieczeństwo stosowania

Deferoksamina stosowana dożylnie jest preparatem najdłużej stosowanym i najlepiej zbadanym.

Główne argumenty decyzji

Nie jest to postępowanie leczące MDS, a jedynie zmniejszające działania niepożądane terapii podtrzymującej. Dowody naukowe wskazują na jedynie nieokreślony i trudny do prognozowania potencjalnie korzystny wpływ leku. Pacjenci z MDS i częstymi transfuzjami mogą być leczeni deferoksaminą.

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 2017 r., poz. 1938 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, nr OT.422.13.2018, „Exjade (deferazyrox) we wskazaniu: zespoły mielodysplastyczne (ICD10: 46)”, data ukończenia: 27.04.2018 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy Novartis Poland Sp. z o.o.

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Novartis Poland Sp. z o.o. o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

Podstawa prawna wyłączenia jawności: art. 5 ust.2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2016, poz.1764 z późn. zm.) w zw. z art. 11 ust. 4 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2003 r., Nr 153, poz. 1503 z późn. zm.).

Organ dokonujący wyłączenia jawności: Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji.

Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Novartis Poland Sp. z o.o.