



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 128/2018 z dnia 11 czerwca 2018 roku

w sprawie oceny zasadności wprowadzenia zmian w programach lekowych B.31 i B.68 dotyczących leczenia tętniczego nadciśnienia płucnego (TNP) (ICD-10 I27, I27.0)

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wprowadzenie proponowanych zmian w programach lekowych:

- B.31 „Leczenie tętniczego nadciśnienia płucnego (TNP) (ICD-10: I27, I27.0)”,
- B.68 „Leczenie tętniczego nadciśnienia płucnego sildenafilem, epoprostenolem i macytentanem (TNP) (ICD-10: I27, I27.0)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Tętnicze nadciśnienie płucne jest chorobą rzadką o bardzo złym rokowaniu. Jeszcze 10 lat temu 5 lat od rozpoznania przeżywało jedynie 60% chorych. Polscy pacjenci z nadciśnieniem płucnym leczeni są nowocześnie, w ramach dwóch kosztownych programów lekowych B31 i B68.

Propozycja zawiera 26 zmian. Wynikają one zazwyczaj z konieczności racjonalizacji programu i jego harmonizacji z wytycznymi towarzystw naukowych, oraz konieczność uwzględnienia ChPL stosowanych w programie produktów leczniczych.

Szczegółowo oceniane zmiany i argumenty za ich finansowaniem przedstawiają się następująco:

1. *Rozszerzenie kryteriów włączenia dorosłych pacjentów do programu lekowego i leczenia początkowego bosentanem o osoby z pierwotnym (idiopatycznym i dziedzicznym) TNP oraz TNP powstałym w przebiegu twardziny układowej bez znaczących zmian płucnych;*
 - *rozszerzenie kryteriów włączenia dorosłych pacjentów do programu lekowego i leczenia początkowego bosentanem o pacjentów w II klasie czynnościowej według WHO;*
 - *wymóg przeprowadzenia ostrego testu wazoreaktywności u pacjentów z idiopatycznym, polekowym lub dziedzicznym tętnicznym nadciśnieniem płucnym;*



- *wprowadzenie do programu lekowego dodatkowego kryterium włączenia do leczenia początkowego BOS (dorośli) - opartego na wynikach oceny spadku ciśnienia w tętnicy płucnej w ostrym hemodynamicznym teście wazoreaktywności ze wskazaniem populacji dla której ocena jest wymagana oraz możliwości włączenia pacjentów u których w wykonanym w przeszłości ostrym teście hemodynamicznym (według aktualnych kryteriów) stwierdzono brak spadku ciśnienia w tętnicy płucnej;*
- *wprowadzenie zapisów umożliwiających stosowanie zamiennie substancji czynnych stosowanych w terapii początkowej (sildenafil w monoterapii, bosentan w monoterapii) w zależności od tolerancji i skuteczności leczenia – jest to zmiana wynikająca z wprowadzenia zmian w programie lekowym nr B.68.*

Jest to zgodne z CHPL i wytycznymi, w opinii ekspertów nie powinno generować kosztów dla płatnika.

2. *Zmiana sformułowania dotycząca kryterium wyłączenia leczenia bosentanem zgodnie z opisem w CHPL.*

Jest to zgodne z CHPL i wytycznymi, w opinii ekspertów nie powinno generować kosztów dla płatnika.

3. *Wskazanie skali, w której ma zostać stwierdzona IV klasa czynnościowa w momencie rozpoznania choroby . Jest to poprawka nomenklaturowa.*
4. *Zmiana ta dotyczy kryteriów wyłączenia leczenia iloprostem, co polega m.in. na usunięciu z listy zaburzeń naczyniowo-mózgowych przebytych w ciągu ostatnich 3. miesięcy; modyfikacja zapisu dotyczącego niewyrównanej niewydolności serca; pozostawienie decyzji o leczeniu w przypadku laktacji lekarzowi. Jest to zgodne z CHPL, najpewniej zwiększy to o kilka osób leczonych iloprostem nie powinno generować znacznych kosztów dla płatnika.*
5. *Zmiana ta dotyczy kryteriów wyłączenia leczenia treprestonilem. usunięcie z listy zaburzeń naczyniowo-mózgowych przebytych w ciągu ostatnich 3. miesięcy; nadciśnienia płucnego o innej etiologii niż podano w kryteriach włączenia; pozostawienie decyzji o leczeniu w przypadku laktacji lekarzowi. Jest to zgodne z CHPL, najpewniej zwiększy to o kilka osób leczonych treprestonilem nie powinno generować znacznych kosztów dla płatnika.*
6. *Możliwość stosowania bosentanu w leczeniu skojarzonym i w sekwencji ustalonej przez lekarza. W opinii ekspertów stosowanie terapii wielolekowej może opóźnić kosztowne leczenie prostanoidami.*
7. *Rozszerzenia wskazań do stosowania bosentanu u dzieci. Jest to zgodne z wytycznymi, w opinii ekspertów może generować małe koszty dla płatnika.*
8. *Zmiana kryterium wyłączenia dzieci z programu B.31.: umożliwienie objęcia leczeniem dzieci z wrodzoną wadą serca z nadciśnieniem płucnym, u których*

istnieje możliwość leczenia operacyjnego przez okres oczekiwania na wykonanie zabiegu operacyjnego. Koszty zwiększone, uzasadnione medycznie i etycznie. Popierane przez ekspertów.

9. *Możliwość stosowania bosentanu w leczeniu skojarzonym u dzieci Dodanie zapisów_ określających kryteria leczenia prostanoidami u dzieci w tym wymagających terapii wielolekowej. Jest to zgodne z wytycznymi, w opinii ekspertów może generować małe koszty dla płatnika.*
10. *Dopasowanie dawkowania bosentanu w terapii skojarzonej do CHPL.*
11. *Zmiana w zakresie dawkowania iloprostu u dorosłych na zgodny z ChPL, a tym samym zniesienie dla terapii dwulekowej SIL+ILO ograniczenia maksymalnej liczba inhalacji iloprostu na dobę wynoszącej obecnie 8. Jest to zgodne z CHPL, nie powinno generować znacznych kosztów dla płatnika.*
12. *Zmiana w zakresie dawkowania leków u dorosłych - treprostynilu ze zgodnego z ChPL na dostosowany przez lekarza indywidualnie z ewentualnym zwiększeniem dawkowania wynikającym z dążenia do osiągnięcia celów terapeutycznych, zalecanych przez towarzystwa naukowe ESC, ERS, EAPC. Zamiana nazwy handlowej (Remodulin) na nazwę substancji czynnej (treprostinil) w punkcie dotyczącym leku stosowanego u pacjentów z pompą wszczepialną – jest to zmiana techniczna i nie podlega ocenie Agencji. Jest to zgodne z CHPL, może generować oszczędności dla płatnika.*
13. *Określenie dawkowania bosentanu u dzieci o masie ciała poniżej 20 kg Zgodne z CHPL, powinno zmniejszyć obciążenie budżetu.*
14. *Umożliwienie zastosowania u dzieci w terapii początkowej zamiennie sildenafilu z bosentanem. Jest to zgodne z wytycznymi ze względu na niższą cenę sildenafilu cenę może generować oszczędności dla płatnika*
15. *Określenie przypadków nie wymagających cewnikowanie prawego serca w przypadku zmiany terapii. Racjonalizacja zmniejszająca koszty płatnika.*
16. *Zastąpienie w obu programach oceny skuteczność terapii „na podstawie cewnikowania prawego serca zgodnie z obowiązującymi standardami” oceną skuteczność terapii "na podstawie przebiegu choroby, indywidualnych cech pacjenta oraz kryteriów prognostycznych, zgodnie z obowiązującymi standardami." Racjonalizacja zmniejszająca koszty płatnika.*
17. *Usunięcie z kryteriów włączenia pacjenta do leczenia sildenafilem zapisu dotyczącego III klasy czynnościowej WHO u pacjentów z zespołem Eisenmengera w przypadku nietolerancji lub nieskuteczności bosentanu. Zmiana ta harmonizuje obydwa programy lekowe. Jest to zgodne z wytycznymi ze względu na niższą cenę sildenafilu cenę może generować oszczędności dla płatnika.*

18. Zniesienie ograniczeń stosowania sildenafilu w terapiach wielolekowych. Jest to zgodne z wytycznymi ze względu na niższą cenę sildenafilu cenę może generować oszczędności dla płatnika.
19. Stosowanie sildenafilu poniżej 1 r.ż. oraz równoważne stosowanie sildenafilu i bosentanu jako opcji leczenia początkowego. Jest to zastosowanie poza CHPL, co jest częste w tej populacji, zgodne z wytycznymi ze względu na niską cenę sildenafilu powinno zmniejszyć obciążenie budżetu.
20. Usunięcie z kryteriów kwalifikacji do leczenia epoprostenolem kryterium wieku; Zmiana zapisu w kryteriach włączenia do leczenia epoprostenolem w zakresie stopnia zaawansowania choroby – wskazanie zastosowania klasyfikacji wg WHO. Rozszerzenie wskazań o populację z TNP uniemożliwiającym przeszczepienie wątroby u pacjentów z porto-pulmonary arterial hypertension. Dodanie wymogu przeprowadzenia testu reaktywności płucnej. Wszystkie wspomniane zmiany są zgodne z wytycznymi, leczenie dzieci prostanoidami może generować dodatkowe niewielkie koszty.
21. Umożliwienie zastosowania terapii skojarzonej macytentan + sildenafil w przypadku wystąpienia cech istotnego uszkodzenia wątroby. Macytentan nie uszkadza wątroby i jest tańszy od prostanoidów.
22. Możliwość kontynuacji leczenia macytentanem przy nietolerancji sildenafilu, Jest to oczywista poprawka techniczna.
23. Usunięcie zapisu zgody konsultanta krajowego w kardiologii na zwiększenie dawki sildenafilu do 3 x 40mg Jest to poprawka techniczna, wymóg ten wydaje się zbędny.
24. Umożliwienie zwiększenia dawki sildenafilu do 3 x 40mg w leczeniu skojarzonym. Wykracza to poza CHPL, lecz jest uwzględnione w wytycznych i nie generuje istotnych kosztów.
25. Możliwość elastycznego zwiększania dawki epoprostenolu. Wynika to z praktyki klinicznej. Efekt całkowity na budżet powinien być zrównoważony.
26. Doprecyzowanie sytuacji, w których należy wykonać cewnikowanie serca w przypadku zmiany terapii. Wynika to z praktyki klinicznej, zmniejszy koszty płatnika.

Problem ekonomiczny

Analiza ekonomiczna nie została przeprowadzona, lecz z uwagi na małą liczbę leczonych chorych przewidywany wpływ na budżet płatnika nie powinien być duży.

Główne argumenty decyzji

Proponowane zmiany harmonizują realizowane już programy z odpowiednimi CHPL i wytycznymi towarzystw naukowych, a ich przewidywany wpływ na budżet płatnika nie powinien być duży.

Uwaga Rady

Rada uważa za zasadne utworzenie jednego programu obejmującego terapie pacjentów z tętnicznym nadciśnieniem płucnym.

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 2017 r., poz. 1938 z późn. zm.), w nawiązaniu do zlecenia Ministra Zdrowia, zawartego w piśmie PLA.4604.354.2018 IK:1332940.MC z dnia 16 maja 2018 r.

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 nr: OT.4320.7.2018 „Opracowanie dotyczące oceny zasadności wprowadzenia zmian w zapisach programów lekowych: »Leczenie tętniczego nadciśnienia płucnego (TNP) (ICD-10: I27, I27.0)« oraz »Leczenie tętniczego nadciśnienia płucnego sildenafilem, epoprostenolem i macytentanem (TNP) (ICD-10: I27, I27.0)«”.
Data ukończenia: 7 czerwca 2018 r.