



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 294/2018 z dnia 13 listopada 2018 roku

w sprawie propozycji nowej treści programu lekowego (w dwóch wariantach - dla populacji do 18 r.ż. oraz w wersji bez ograniczeń wiekowych) dla leku Spinraza (nusinersen)

Rada Przejrzystości, w odniesieniu do propozycji treści programu lekowego (w dwóch wariantach: dla populacji do 18 r.ż. oraz w wersji bez ograniczeń wiekowych) dla leku Spinraza (nusinersen), przedstawia poniższą opinię.

Zaproponowane w zapisach programu lekowego zmiany skutkują zawężeniem populacji docelowej, natomiast jedyną różnicą pomiędzy programami jest kryterium wieku. Trzeba pamiętać, że lek jak i leczenie jest bardzo drogie. Inwestując w populację do 18 roku życia nie można zaprzestać leczenia osób wchodzących w wiek produkcyjny, bo tylko wtedy są oni w stanie rekompensować poniesione wydatki przez płatnika publicznego generując PKB.

Cena za leczenie, przy objęciu wspólnej populacji, przy uwzględnieniu instrumentu dzielenia ryzyka (RSS), będzie niższa.

Zmiany w ocenianych programach lekowych względem ocenianego w AWA.OT.4331.12.2017, wydają się być zasadne.

Uwzględnienie wyłącznie pacjentów z objawami choroby (w ramach programu ocenianego w AWA OT.4331.12.2017 ten zapis nie występował, lecz szacunki populacji docelowej na potrzeby ww. analizy odnosiły się do populacji objawowej, zatem nie należy spodziewać się, że zapis ten wpłynie na obniżenie populacji oszacowanej w ww. AWA).

Nieuwzględnienie pacjentów wymagających stałej respiratoroterapii (w ramach programu ocenianego w AWA OT.4331.12.2017 ten zapis nie występował). Na podstawie publikacji Wadman 2017 i odsetka pacjentów z poszczególnymi typami SMA (zgodnie z AWA OT.4331.12.2017: typ I – 24,7%, typ II – 58,5%, typ III – 16,9%). Oszacowano, że średnio wśród pacjentów z typem SMA I-III około 6,3% wymaga stałej respiratoroterapii.

W przypadku pacjentów z typem I SMA wymagane jest minimalnie 10 punktów w skali CHOP-INTEND (w ramach programu ocenianego w AWA OT.4331.12.2017 ten zapis nie występował). Na podstawie charakterystyki



pacjentów włączonych do badania ENDEAR, odsetek pacjentów włączonych do badania z oceną w skali CHOP-INTEND w zakresie 0-10 pkt wynosił 3%.

Zmiany w zapisach określających czas leczenia w programie, zakładające częstsze monitorowanie pacjentów, mogą przyczynić się do zmniejszania rocznej liczby pacjentolat terapii, a zatem do obniżenia wydatków na nusinersen. Brak jest jednak danych pomocnych w oszacowaniu wpływu tego zapisu na liczbę pacjentolat terapii.

Jedno z kryteriów wykluczenia mówi o pacjentach z liczbą kopii genu SMN2 mniejszej niż 2, co również ma wpływ na obniżenie liczebności populacji docelowej. Na podstawie danych, dotyczących potwierdzonych przypadków SMA w całej Polsce, na podstawie publikacji Jędrzejowska 2010, można założyć, że odsetek pacjentów z brakiem lub jedną kopią genu SMN2 jest wysoki i wynosi około 52% (310 z 600 pacjentów). Zatem, liczebność populacji wnioskowanej może spaść nawet o około 52% w wyniku wprowadzenia tego zapisu. Inne źródła (m.in. Jędrzejowska 2009) podają znacznie niższy odsetek.

W kryteriach wykluczenia jest mowa również o pacjentach z typem 0 i IV SMA, którzy będą wykluczani z programu lekowego. Brak jest danych o odsetku pacjentów z SMA typu 0 lub IV, należy się jednak spodziewać, że odsetek ten jest niski i zapis ten nie wpłynie w znacznym stopniu na liczebność populacji docelowej.

W kryteriach wykluczenia mówi się o pacjentach z liczbą kopii genu SMN2 mniejszej niż 2 (wykluczenie z programu pacjentów z brakiem lub 1 kopią genu SMN2), co może spowodować obniżenie populacji nawet o około 52%.

W kryteriach wykluczenia jest mowa również o pacjentach z typem 0 i IV SMA, którzy będą wykluczani z programu lekowego. Brak jest danych o odsetku pacjentów z SMA typu 0 lub IV. Należy się jednak spodziewać, że odsetek ten jest niski i zapis ten nie wpłynie w znacznym stopniu na liczebność populacji docelowej.

Zmniejszenie populacji docelowej pozwala na zmniejszenie obciążenia płatnika publicznego,

Dodatkowo, należy dążyć do wypracowania mechanizmu bazującego na wynikach terapii, co jednoznacznie było propozycją Rady w marcu 2018 roku.

. Okres nasycenia trwa do 63 dni,

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 2018 r., poz. 1510, z późn. zm.), w nawiązaniu do zlecenia Ministra Zdrowia, zawartego w piśmie PLA.4604.389.2018 z dnia 16.10.2018 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 2018 r., poz. 1510, z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby opinii w zakresie propozycji nowej treści programu lekowego w dwóch wariantach (dla populacji do 18 r.ż. oraz w wersji bez ograniczeń wiekowych) oraz ocena populacji i wpływu na budżetu dwóch wariantów oferty złożonej przez Wnioskodawcę w dn. 11.09.2018 r.nr: OT.4320.20.2018 „Spinraza (nusinersen) w ramach programu lekowego »Leczenie rdzeniowego zaniku mięśni (ICD-10 G12.0, G12.1)«”.
Data ukończenia: 06.11.2018 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia przedstawiciela pacjentów/eksperta przedstawiona w trakcie posiedzenia.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Biogen Idec Limited.).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem (Biogen Idec Limited.) 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 r., 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 2018 r., poz. 419).

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

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: (Biogen Idec Limited.).