



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 20/2019 z dnia 1 kwietnia 2019 roku
w sprawie oceny leku Omnitrope (somatropinum) w ramach
programu lekowego „Leczenie ciężkiego niedoboru hormonu wzrostu
u dorosłych oraz młodzieży po zakończeniu terapii promującej
wzrastanie (ICD-10 E23.0)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego:

- *Omnitrope (somatropinum), roztwór do wstrzykiwań, 5 mg/1,5 ml, 5 wkładów 1,5 ml, kod EAN: 5909990050161,*
- *Omnitrope (somatropinum), roztwór do wstrzykiwań, 10 mg/1,5 ml, 5 wkładów 1,5 ml, kod EAN: 5909990072897,*

w ramach programu lekowego: „Leczenie ciężkiego niedoboru hormonu wzrostu u dorosłych oraz młodzieży po zakończeniu terapii promującej wzrastanie (ICD-10 E23.0)”, w ramach istniejącej grupy limitowej, i wydawanie go bezpłatnie.

Rada Przejrzystości uważa instrument dzielenia ryzyka za niewystarczający i, wobec istotnego zwiększenia populacji, wskazuje, że powinien być on pogłębiony. Ponadto, Rada uważa, że somatropina powinna być kupowana w ramach istniejących przetargów na somatropinę dla dzieci.

Rada uważa, że kwalifikację do programu lekowego powinien wykonywać zespół koordynujący, podobnie jak w programach dla dzieci. Należy też zapewnić współpracę ośrodków leczących dzieci i młodzież oraz dorosłych.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Wnioskowany program obejmuje leczenie dorosłych pacjentów z ciężkim niedoborem hormonu wzrostu oraz młodzieży po zakończeniu terapii promującej wzrastanie. Zarejestrowane wskazanie leku Omnitrope obejmuje m.in.:

- *leczenie niemowląt, dzieci i młodzieży z zaburzeniami wzrostu wynikającymi z niedostatecznego wydzielania hormonu wzrostu,*
- *terapię zastępczą pacjentów dorosłych ze znacznym niedoborem hormonu wzrostu,*



- *pacjentów, u których początek choroby wystąpił w wieku dorosłym, związany z niedoborami wielu hormonów w następstwie rozpoznanej patologii podwzgórzowej lub przysadkowej i u których występuje niedobór przynajmniej jednego hormonu przysadkowego niebędącego prolaktyną,*
- *dorosłych pacjentów u których początek choroby wystąpił w dzieciństwie, w następstwie przyczyn wrodzonych, genetycznych, nabytych lub idiopatycznych. U pacjentów tych należy przeprowadzić ponowną ocenę zdolności wydzielania hormonu wzrostu po ukończeniu procesu wzrastania.*

Obecnie lek Omnitrope jest refundowany ale w ramach programów lekowych dotyczących populacji pediatrycznej (B.19.; B.38.; B.41.; B.42 i B.64).

Nie jest jasne dlaczego wnioskodawca wnioskuje o 3-letni okres refundacji, ponieważ, wg zapisów ustawy o refundacji, pierwsza decyzja refundacyjna w nowym wskazaniu przyznawana jest na okres 2 lat. W ocenianym wskazaniu nie ma obecnie refundowanych żadnych produktów leczniczych.

Wnioskodawca zwraca się o zakwalifikowanie produktu leczniczego Omnitrope do grupy limitowej 1077.0 Somatropinum, w której obecnie znajdują się preparaty somatropiny refundowane w ramach innych programów lekowych.

Dowody naukowe

W 2014 roku oceniano lek Omnitrope w ramach programu lekowego „leczenie hormonem wzrostu niskorosłych dzieci urodzonych jako zbyt małe w porównaniu do czasu trwania ciąży (SGA/IUGR; ICD-10 R 62.9)”. Lek otrzymał wtedy pozytywną rekomendację zarówno Rady Przejrzystości jak i Prezesa AOTM. W uzasadnieniu stwierdzono, że skuteczność i bezpieczeństwo ocenianego leku zastały udowodnione w licznych badaniach naukowych, a odnalezione wytyczne kliniczne oraz opinie ekspertów klinicznych zalecają stosowanie wnioskowanej technologii.

Problem ekonomiczny

Według danych otrzymanych z NFZ w 2018r., liczba osób powyżej 18 roku życia ze zdiagnozowaną niedoczynnością przysadki wyniosła ponad 2700. Również część pacjentów w wieku poniżej 18 lat może stanowić ocenianą populację docelową, ponieważ np. w ramach programu lekowego B.19 pacjenci z CO-GHD mogą być leczeni tylko do osiągnięcia wieku kostnego (16-letniego dla dziewczynek i 18-letniego dla chłopców). Należy jednak wziąć pod uwagę, że nie wszyscy pacjenci z rozpoznaniem E23.0 będą się kwalifikowali do wnioskowanego programu lekowego (np. pacjenci z niewielkim niedoborem hormonu wzrostu lub ze współistniejącą chorobą nowotworową). Niestety, na podstawie danych uzyskanych od NFZ nie jest możliwe wiarygodne oszacowanie populacji, która będzie się kwalifikować do proponowanego programu lekowego.

W toku pracy nad zleceniem otrzymano również opinie 2 ekspertów klinicznych, którzy oszacowali populację docelową na około 4000 osób.

Prognozowane wydatki NFZ związane z objęciem refundacją leku Omnitrope to ok. [redacted] zł w pierwszym roku analizy, ok. [redacted] zł w drugim roku i ok. [redacted] zł w trzecim roku refundacji uwzględniając RSS. W przypadku nieuwzględnienia RSS wydatki inkrementalne NFZ wynikające z objęcia refundacją wnioskowanego leku wyniosą odpowiednio [redacted] zł, [redacted] zł i [redacted] zł.

Główne argumenty decyzji

Wg ekspertów, obecnie w Polsce nie są stosowane żadne opcje terapeutyczne w analizowanym wskazaniu. Jednocześnie, głównym problemem jest brak jednoznacznie określonych standardów diagnostyki, kwalifikacji do terapii i monitorowania leczenia ciężkiego GHD.

Wobec powyższego, celowe jest zapewnienie centralnego zakupu preparatów hormonu wzrostu oraz zorganizowanie trybu kwalifikacji dla osób dorosłych, podobnie jak ma to obecnie miejsce w przypadku leczenia dzieci. Jako grupę pacjentów, która może odnieść największą korzyść z wprowadzenia refundacji ocenianej technologii, eksperci uznali młode osoby dorosłe i młodzież z niedoborem hormonu wzrostu rozpoznanym w dzieciństwie, u których leczenie we wnioskowanym programie lekowym będzie podjęte w krótkim czasie po zakończeniu terapii promującej wzrastanie.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 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 analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr: OT.4331.4.2019 „Wniosek o objęcie refundacją leku Omnitrope (somatropina) we wskazaniu: »Leczenie ciężkiego niedoboru hormonu wzrostu u dorosłych oraz młodzieży po zakończeniu terapii promującej wzrastanie (ICD-10: E23.0)«”. Data ukończenia: 21 marca 2019.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Sandoz Polska Sp. z o.o.).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem (Sandoz Polska 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 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: (Sandoz Polska Sp. z o.o.).