



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 68/2019 z dnia 18 marca 2019 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych,
w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku
Stelara (ustekinumabum) we wskazaniu: Choroba Crohna
(ICD 10: K 50.8) u pacjenta pediatrycznego

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Stelara (ustekinumabum), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 130 mg we wskazaniu: Choroba Crohna (ICD-10: K 50.8) u pacjenta pediatrycznego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Pismami z dnia 15.02.2019 r., znaki PLD.46434.773.2019.1.AK oraz PLD.46434.92.2019.1.AK (data wpływu do AOTMiT 21.02.2019 r.) Minister Zdrowia zlecił Agencji na zasadzie art. 47 f ust. 1 ustawy o świadczeniach, przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych leku Stelara we wskazaniu: choroba Crohna (ICD - 10: K 50.8) u pacjenta pediatrycznego. Jest to wskazanie pozarejestacyjne.

W 2017 r. ocenie, m.in. we wskazaniu choroba Leśniowskiego - Crohna u pacjenta pediatrycznego (ICD - 10: K50), w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych podlegał lek Entyvio (wedolizumab) (u pacjentów, którzy nie reagują wystarczająco, przestali reagować na leczenie lub nie tolerują leczenia konwencjonalnego lub TNFα). Zarówno opinia Rady Przejrzystości, jak i Agencji były pozytywne w zakresie zasadności finansowania powyższej technologii lekowej.

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Choroba Leśniowskiego - Crohna to przewlekły proces zapalny, w którym zmiany pierwotne mogą zajmować każdy odcinek przewodu pokarmowego (od jamy ustnej do odbytu). Zmiany mają charakter odcinkowy, niesymetryczny i pełnościenny. W przebiegu choroby Leśniowskiego - Crohna często występują charakterystyczne powikłania układowe i objawy pozajelitowe. W około 1/5 przypadków objawy pojawiają się przed 18 rokiem życia.

Skuteczność kliniczna i praktyczna



Słabej jakości dowody naukowe - retrospektywne badanie kliniczne - sugeruje skuteczność Stelara we wnioskowanym wskazaniu.

Bezpieczeństwo stosowania

Brak jest dobrej jakości danych pozwalających określić bezpieczeństwo stosowania leku w populacji pediatrycznej. Ciężkie zdarzenia niepożądane raportowano u 2/44 pacjentów, którzy otrzymali dawkę indukcyjną ustekinumabu - związek z podanym leczeniem został określony przez badaczy jako niejasny.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Nie jest możliwa do jednoznacznego określenia. Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania została oceniona przez EMA na etapie rejestracji jedynie w populacji osób dorosłych.

Konkurencyjność cenowa

Oszacowane roczne wydatki płatnika publicznego na refundację ustekinumabu w analizowanej populacji są [REDAKTOWANO] od szacowanych wydatków na stosowanie komparatora.

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

Koszt dla płatnika publicznego refundacji 3 miesięcy terapii inicjującej (2 podania) lekiem Stelara u jednego pacjenta wyniesie [REDAKTOWANO]. Wydatki płatnika należy jednak szacować zakładając, że pacjenci z populacji docelowej (20 osób) będą leczeni lekiem Stelara przez 12 miesięcy. W takim przypadku koszty leczenia wyniosą ok. [REDAKTOWANO].

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

Alternatywną technologię stanowi Entyvio (wedolizumab), którego stosowanie w populacji pediatrycznej (we wskazaniu off - label) uzyskało pozytywną opinię Agencji i Rady Przejrzystości w 2017 roku. Efektywność kliniczna potwierdzają retrospektywne badania kliniczne.

Przy formułowaniu opinii Rady założono, że zgodnie z ustawą o świadczeniach opieki zdrowotnej, zostały już wyczerpane wszystkie możliwe do zastosowania w tym wskazaniu dostępne technologie medyczne finansowane ze środków publicznych - Rada nie dysponuje informacjami w tym zakresie.

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 w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, nr: OT.422.18.2019, „Stelara (ustekinumab) we wskazaniu: choroba Crohna (ICD-10: K 50.8)”, data ukończenia: 13 marca 2019 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Janssen-Cilag Polska Sp. z o.o. i Takeda Pharma A/S).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Janssen-Cilag Polska Sp. z o.o. i Takeda Pharma A/S 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 2018 r., poz. 1330 z późn. zm.) w zw. z art. 11 ust. 2 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2018 r., poz. 419 z późn. zm.).

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

Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Janssen-Cilag Polska Sp. z o.o. i Takeda Pharma A/S