



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 88/2019 z dnia 8 kwietnia 2019 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych,
w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku
MabThera (rytuksymab) we wskazaniu: twardzina układowa
(ICD-10: M34)

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku MabThera (rytuksymab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji 10 mg/ml, we wskazaniu: twardzina układowa (ICD-10: M34). W przypadku dostępności alternatywnego preparatu rytuksymabu, Rada stoi na stanowisku, iż zastosowany powinien być najtańszy preparat. Warunkiem finansowania w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych jest udokumentowany brak skuteczności u chorego innych opcji terapeutycznych rekomendowanych w tym schorzeniu, w tym metotreksatu, mykofenolanu mofetylu i cyklofosfamidu.

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Twardzina układowa jest przewlekłą chorobą układową tkanki łącznej, charakteryzującą się postępującym włóknieniem skóry i narządów wewnętrznych, uszkodzeniami naczyń krwionośnych oraz zaburzeniami immunologicznymi. Większość zgonów jest związana z włóknieniem płuc, nadciśnieniem płucnym i uszkodzeniami serca.

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Analizę skuteczności rytuksymabu w twardzinie oceniano w dwóch randomizowanych badaniach klinicznych (Boonstra 2017, Daoussis 2010). W badaniu Boonstra 2017 nie stwierdzono istotnych statystycznie różnic między grupą przyjmującą rytuksymab a grupą kontrolną pod względem przeżycia wolnego od progresji (PFS), zmian natężonej pojemności życiowej (FVC), zdolności dyfuzji gazów w płucach (DLCO), oceny stanu zdrowia wg kwestionariusza HAQ i zmian wyników w zmodyfikowanej skali Rodnana (mRSS), jak również jakości życia (wg. kwestionariusza SF-36 oraz EQ-5D) w 24-miesięcznym okresie obserwacji.



Z kolei w badaniu Daoussis 2010 w rocznym okresie obserwacji, w grupie otrzymującej rytuksymab stwierdzono istotną statystycznie poprawę stanu zdrowia ocenianego przy pomocy skali mRSS i kwestionariusza HAQ. W badaniach oceniających skuteczność praktyczną stosowania rytuksymabu w twardzinie układowej (Daoussis 2017) stwierdzono, że w dwuletnim okresie terapia ta nie ma istotnego wpływu na przeżycie całkowite, obserwuje się jednakże poprawę lub stabilizację w zakresie niektórych parametrów wydolności oddechowej (FEV i DLCO).

Według wytycznych klinicznych oraz zdaniem ekspertów, pomimo braku wystarczających danych naukowych, rytuksymab może być stosowany w leczeniu twardziny w przypadku występowania zapalenia stawów (czwarta linia leczenia po niepowodzeniu metotreksatu, niskich dawek glikokortykosteroidów i leków przeciwmalarycznych), w zaawansowanym włóknieniu płuc (trzecia linia leczenia po niepowodzeniu leczenia mykofenolanem mofetylu i dożylnym cyklofosfamidem, a przed przeszczepem szpiku).

Bezpieczeństwo stosowania

Rytuksymab jest lekiem obecnym na rynku od wielu lat, a jego profil bezpieczeństwa został dobrze poznany. Podczas jego stosowania najczęściej występują zaburzenia związane z układem krwiotwórczym, infekcje (w tym ciężkie), nudności i zmiany skórne.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Rytuksymab nie jest zarejestrowany do stosowania u pacjentów z twardziną układową, jednakże dostępne dane dotyczące skuteczności i bezpieczeństwa w omawianym wskazaniu sugerują, że korzyści zdrowotne przeważają nad ryzykiem jego stosowania.

Konkurencyjność cenowa

Koszt netto wnioskowanej terapii jest wysoki: koszt 3 cykli terapii wynosi około [REDAKTOWANO] zł (koszt jednej fiołki ok. [REDAKTOWANO] zł).

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

Na podstawie opinii ekspertów, liczebność populacji docelowej, która przyjmowałaby rytuksymab oszacowano na 5-500 osób rocznie. Koszty terapii rytuksymabem populacji docelowej (5-500 pacjentów) oszacowano: za 3 cykle – od [REDAKTOWANO] do [REDAKTOWANO] zł netto, za roczną terapię – [REDAKTOWANO] do [REDAKTOWANO] zł.

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

Zgodnie z obwieszczeniem Ministra Zdrowia z dnia 27.02.2019 r., spośród zalecanych w wytycznych klinicznych cząsteczek do stosowania w leczeniu

twardziny układowej, wszystkie są aktualnie refundowane w Polsce. W związku z powyższym można założyć, że w rozważanym przypadku nie ma technologii lekowej, która mogłaby stanowić alternatywną terapię dla wnioskowanej populacji.

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.422.29.2019 „MabThera (rytuksymab) we wskazaniu: twardzina układowa (ICD-10: M34) w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych”.
Data ukończenia: 3 kwietnia 2019 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Roche 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 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: Roche Polska Sp. z o.o.