



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 91/2019 z dnia 15 kwietnia 2019 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku MabThera (rytuksymab) we wskazaniu: choroba Devica (ICD-10: G36)

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku MabThera (rytuksymab), koncentrat do sporządzenia roztworu do infuzji, 10 mg/ml, we wskazaniu: choroba Devica (ICD-10: G36).

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Choroba Devica, zapalenie nerwów wzrokowych i rdzenia (NMO, neuromyelitis optica) jest autoimmunologiczną chorobą ośrodkowego układu nerwowego (OUN) o charakterze zapalno-demielinizacyjnym. Obraz kliniczny NMO obejmuje przede wszystkim objawy zajęcia nerwów wzrokowych oraz rdzenia kręgowego; u ponad połowy pacjentów występują też inne objawy ośrodkowe. Średni wiek zachorowania to 39 lat. Naturalny przebieg choroby jest zwykle ciężki; śmiertelność po 5 latach od rozpoznania choroby wynosi średnio 25–30%. Po 7 latach trwania choroby około połowa pacjentów cierpi na istotne zaburzenia funkcji ruchowych, większość chorych jest zmuszona do korzystania z wózka inwalidzkiego. W rzadkich przypadkach może dochodzić do niewydolności oddechowej pochodzenia neurogennego, wymagającej zastosowania metod wspomaganego oddechu. Po 5 latach trwania choroby u 60–70% pacjentów występuje ślepotą przynajmniej jednego oka.

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Odnaleziono przegląd systematyczny z metaanalizą Gao 2019, do którego włączono 26 badań na temat skuteczności rytuksymabu w chorobie Devica.

W większości z włączonych badań (19/26 publikacji) rytuksymab stosowano jako kolejną linię leczenia, po nieskuteczności terapii immunosupresyjnych. Jako terapie pierwszego wyboru, przed zastosowaniem rytuksymabu, stosowano: prednizon, cyklofosfamid, metotreksat, mitoksantron, interferon, azatioprynę, mykofenolan mofetylu, dożylną immunoglobulinę, a także zabieg wymiany osocza.



Zgodnie z wnioskami autorów przeglądu, rytuksymab zmniejsza odsetek nawrotów u chorych z chorobą Devica oraz poprawia wynik w skali EDSS (rozszerzona skala niesprawności ruchowej, ang. Expanded Disability Status Scale). Spośród 528 pacjentów, 330 (62,9%) osiągnęło stan wolny od progresji choroby.

Brak jest polskich wytycznych dotyczących stosowania rytuksymabu w chorobie Devica. Odnaleziono 2 wytyczne kliniczne: europejską (EFNS 2010) i niemiecką Neuromyelitis Optica Study Group (NEMOS 2013). Rytuksymab jest w nich wymieniany jako lek stosowany w NMO, zarówno jako terapia I rzutu, jak i opcja terapeutyczna u pacjentów, którzy nie odpowiedzieli na poprzednią terapię immunosupresyjną.

Bezpieczeństwo stosowania

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

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Wskazania rejestracyjne produktu leczniczego MabThera nie obejmują leczenia choroby Devica. Wnioskowane wskazanie jest zatem wskazaniem „off label” i nie przeprowadzono dla niego oceny relacji korzyści do ryzyka. Jednak dane dotyczące skuteczności i bezpieczeństwa w omawianym wskazaniu sugerują, że korzyści zdrowotne przeważają nad ryzykiem jego stosowania.

Konkurencyjność cenowa

Nie zidentyfikowano nierefundowanej alternatywnej technologii lekowej dla wnioskowanej populacji.

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

Brak jest informacji odnoszących się do liczby pacjentów, u których można byłoby zastosować ocenianą technologię lekową. Koszty leczenia 1 pacjenta 3 cyklami rytuksymabu wynosi: wg zlecenia MZ - ██████████ PLN netto; wg aktualnego obwieszczenia Ministra Zdrowia - 51 345,20 PLN brutto; wg komunikatu DGL za okres I-XII.2018 r - 37 855,44 PLN.

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

W rozważanym przypadku nie ma technologii lekowej, która mogłaby stanowić alternatywną terapię dla rytuksymabu u pacjentów z chorobą Devica w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych.

Uwaga Rady

Jeżeli w Polsce będą dostępne inne preparaty rytuksymabu, powinien być refundowany preparat najtańszy.

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.422.31.2019 „MabThera (rytuksymab) we wskazaniu: choroba Devica (ICD-10: G36) w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych”. Data ukończenia: 10 kwietnia 2019 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Roche Registration GmbH).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Roche Registration GmbH 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 Registration GmbH