



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 128/2019 z dnia 6 maja 2019 roku
w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych,
w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku
Mabthera (rytuksymab) we wskazaniu: katastrofalny zespół
antyfosfolipidowy (ICD-10: M35.8)

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: katastrofalny zespół antyfosfolipidowy (ICD-10: M35.8).

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Katastrofalny zespół antyfosfolipidowy (CAPS) stanowi rzadką postać zespołu antyfosfolipidowego, w której w bardzo krótkim czasie dochodzi do niewydolności wielonarządowej. Jest on stanem zagrażającym życiu, wymagającym intensywnego leczenia. Choroba charakteryzuje się wysoką śmiertelnością. U chorego, którego dotyczy wniosek, stosowano już w leczeniu glikokortykosteroidy, heparyny drobnocząsteczkowe, preparaty antagonistyczne dla witaminy K, rywaroksaban, cyklofosfamid, plazmaferezy oraz leczenie operacyjne powikłań (trombembolektomia).

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Odnaleziono jedno badanie retrospektywne opisowe (Berman 2013), w którym przeprowadzono przegląd międzynarodowego rejestru pacjentów z CAPS. Ustąpienie objawów epizodu CAPS odnotowano u 8/12 (67%) pacjentów, u których rytuksymab stosowano po niepowodzeniu uprzedniej terapii. Dowody naukowej słabej jakości wskazują, więc, na aktywność wnioskowanego leku w omawianym wskazaniu.

Bezpieczeństwo stosowania

Bezpieczeństwo stosowania rytuksymabu jest dobrze poznane we wskazaniach rejestracyjnych, obejmujących głównie schorzenia hematologiczne i RZS. Obserwowano różnego rodzaju działania niepożądane związane z infuzją, w tym zespół uwalniania cytokin. Po dożylnym podaniu produktów białkowych obserwowano występowanie reakcji anafilaktycznych lub innych reakcji



nadwrażliwości, wśród często występujących zdarzeń niepożądanych wymieniano także infekcje i reakcje skórne. W badaniu Berman 2013 nie oceniano występowania zdarzeń niepożądanych.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Zdaniem ekspertów, pomimo skąpych dowodów naukowych na bezpieczeństwo i skuteczność stosowania rytuxymabu w CAPS, korzyści zdrowotne wydają się wyraźnie przewyższać ryzyka stosowania.

Konkurencyjność cenowa

Koszt analizowanej terapii dla 1 pacjenta przy zakładanym dawkowaniu i koszcie wg zlecenia MZ wyniesie ██████████ zł brutto, natomiast przy przyjęciu kosztów na podstawie danych DGL koszt ten wyniesie 34,1 tys. zł. Przy przyjęciu dawkowania rytuksymabu na podstawie najczęściej stosowanego sposobu dawkowania opisanego w publikacji Berman 2013 (1000 mg/ 2 tygodnie – 2 podania), koszty leczenia pacjentów byłyby niższe.

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

Przy założeniu, że pacjenci z populacji docelowej będą leczeni przez 1 miesiąc, koszt terapii rytuksymabem nowo zdiagnozowanych chorych dla płatnika publicznego wyniesie w zależności od przyjętej liczebności populacji (2 –10 pacjentów) od ok. ██████████ przy przyjęciu cen leków na podstawie zlecenia MZ i od ok. 68,1 tys. do 340,7 tys. zł przy przyjęciu cen leków na podstawie danych DGL.

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

Formy terapii zalecane w pierwszej linii leczenia katastrofalnego zespołu antyfosfolipidowego to glikokortykosteroidy, heparyny, plazmaferezy, dożylnie immunoglobuliny. Terapie te zostały wykorzystane u chorego, którego dotyczy wniosek. Jeden z ekspertów, jako alternatywę dla rytuksymabu, wskazał ekolizumab. Lek ten nie jest jednak wymieniany w wytycznych postępowania klinicznego w omawianej jednostce chorobowej. W związku z tym należy uznać, że komparatorem dla analizowanej technologii pozostaje najlepsza terapia wspomagająca.

Uwaga Rady:

- należy zastosować najtańszy preparat rytuksymabu dostępny w Polsce.

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.422.32.2019 „Mabthera (rituximab) we wskazaniu: katastrofalny zespół antyfosfolipidowy (ICD-10: M35.8)”. Data ukończenia: 30 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