



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 142/2019 z dnia 27 maja 2019 roku

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

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku RoActemra (tocilizumab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, fiołka à 20 mg/ml, EAN: 5909990678266, we wskazaniu: twardzina układowa uogólniona (ICD-10: M34).

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Twardzina układowa (SSc) jest rzadką, przewlekłą, postępującą, chorobą układową tkanki łącznej charakteryzującą się postępującym włóknieniem skóry i narządów wewnętrznych. Do najczęściej zajętych tkanek i narządów należą: skóra, układ kostno-stawowy, przewód pokarmowy, układ sercowo-naczyniowy, płuca, nerki i układ nerwowy. Rokowanie zależy od obecności i rozległości zmian w narządach wewnętrznych i podtypu klinicznego. W chwili obecnej brak jest metody leczenia prowadzącej do remisji narządowej.

Skuteczność kliniczna i praktyczna

W wyniku przeprowadzonego przeglądu odnaleziono: 2 badania RCT (Khanna 2016, Shima 2018). W badaniu Khanna 2016 nie osiągnięto pierwszorzędnego punktu końcowego. Po 48 tygodniach trwania badania, pacjenci przyjmujący tocilizumab osiągnęli lepsze wyniki we wszystkich mierzonych wskaźnikach, niż osoby z grupy placebo. Jednak nie wykazano istotności statystycznej wyników. W badaniu Shima 2018 podczas 6 miesięcznego okresu obserwacji średni spadek wartości w skali mRSS od danych początkowych był większy w grupie badanej (spadek o 6,3) niż w grupie kontrolnej (spadek o 3,4), jednak wyniki nie były istotne statystycznie. W grupie badanej dwóch pacjentów uzyskało różnicę w skali mRSS na poziomie 55% i 48% w ciągu 6 miesięcy leczenia, u jednego pacjenta nie zaobserwowano żadnej zmiany, a reszta miała wyniki porównywalne z grupą kontrolną.



Bezpieczeństwo stosowania

W badaniu Khanna 2016 w ciągu 24 tygodni, u 38 z 43 (88%) pacjentów stosujących tocalizumab oraz u 40 z 44 (91%) osób z grupy otrzymujących placebo, wystąpiły zdarzenia niepożądane. W przeciągu 48 tygodni, u 42 (98%) tocilizumab oraz 40 (91%) z grupy placebo. Najczęściej występującym zdarzeniem niepożądanym były zakażenia, zaburzenia żołądkowo-jelitowe, dolegliwości skórne lub podskórne, zaburzenia mięśni szkieletowych lub tkanki łącznej.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

W opinii eksperta klinicznego „u wybranych chorych być może korzyści przewyższą niebezpieczeństwo, ale w chwili obecnej brak danych, aby taką grupę znaleźć. W badaniu fazy 2 tocilizumab zwiększał ilość ciężkich infekcji, a jeden chory zmarł w związku ze stosowaniem tego leku”.

Konkurencyjność cenowa

Oszacowane wydatki płatnika publicznego na refundację produktu leczniczego RoActemra dla pojedynczego pacjenta z analizowanej populacji byłyby niższe od szacunkowych kosztów leczenia potencjalnym komparatorem (rituksymab), przy uwzględnieniu cen podanych we wniosku.

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

Oszacowanie roczne wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych przeliczono dla 4 pacjentów. Wpływ na sumaryczne wydatki podmiotu zobowiązanego będzie zatem stosunkowo mały.

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

W przypadku występowania objawów skórnych lekiem z wyboru jest metotreksat. W razie jego nieskuteczności lub przeciwwskazań zalecany jest mykofenolat mofetylu, a w kolejnej linii wlewy dożylnie cyklofosfamidu. W najcięższych przypadkach przeszczep autologicznego szpiku jako leczenie czwartej linii.

We włóknieniu płuc lekami pierwszej i drugiej linii są mykofenolat mofetylu i/lub cyklofosfamid we wlewach dożylnych. Trzecią linię może stanowić leczenie rytuksymabem lub przeszczep szpiku.

Biorąc pod uwagę, iż zlecenie dotyczy ratunkowego dostępu do technologii lekowej, należy założyć, iż wykorzystano wszystkie możliwe do zastosowania refundowane technologie medyczne.

W związku z deklaracją lekarza wnioskującego o szczególnej skuteczności tocilizumabu, potwierdzonej wynikami badań laboratoryjnych i obrazowych,

Rada proponuje ponowne rozpatrzenie wniosku po szczegółowym zapoznaniu się z historią choroby pacjentki.

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.422.39.2019 „RoActemra (tocilizumab) we wskazaniu: twardzina układowa uogólniona (ICD-10: M34)”. Data ukończenia: 22 maja 2019 r.