



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 284/2019 z dnia 9 września 2019 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Nucala (mepolizumab) we wskazaniu: eozynofilowe zapalenie tkanki podskórnej (choroba Wellsa) (ICD-10: L98.3)

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Nucala (mepolizumab), proszek do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, fiołka á 100 mg, we wskazaniu: eozynofilowe zapalenie tkanki podskórnej (choroba Wellsa) (ICD-10: L98.3).

Uzasadnienie

Zgodnie z Obwieszczeniem Ministra Zdrowia z dnia 30 sierpnia 2019 r. mepolizumab w preparacie Nucala jest obecnie refundowany w ramach programu lekowego B.44 „Leczenie ciężkiej astmy alergicznej IgE zależnej (ICD-10 J45.0) oraz ciężkiej astmy eozynofilowej (ICD-10 J45)”. Nucala jest zarejestrowana do stosowania w leczeniu uzupełniającym dorosłych, młodzieży i dzieci w wieku 6 lat i starszych z ciężką, oporną na leczenie astmą eozynofilową.

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Zespół Wellsa jest bardzo rzadką chorobą o nieznanym etiologii. Został on ujęty w jednostkę nozologiczną w roku 1971. Charakteryzuje się zespołem objawów skórnych o różnej morfologii z objawami ogólnymi oraz widoczną komponentą eozynofilową w badaniu hist.-pat. tkanki podskórnej i/lub w rozmazie krwi, występującą u ok. 50% pacjentów. Reakcja chorobowa ma charakter nawrotowy, rokowanie jest dobre, a najcięższym powikłaniem może być wystąpienie zmian twardzinopodobnych. Objawy w zespole Wellsa mają tendencję do spontanicznej remisji po 4-5 tygodniach, w związku z czym rzeczywista efektywność stosowanych terapii może być trudna w ocenie. Po zastosowaniu leczenia miejscowego objawy zwykle ustępują w ciągu kilku tygodni lub miesięcy. Niemniej jednak, w przypadku wystąpienia zmian rozległych, nawracających i opornych na leczenie, może być konieczne zastosowanie długotrwałego leczenia systemowego.



Skuteczność kliniczna i praktyczna

Analizę kliniczną przeprowadzono w oparciu o dowody niskiej wiarygodności, tj. opisy przypadków. Odnalezione badania dotyczą łącznie dwóch osób dorosłych, u których rozpoczęto leczenie mepolizumabem ze względu na współistnienie astmy eozynofilowej. Po podaniu leku obserwowano całkowite ustąpienie zmian skórnych oraz normalizację eozynofilii, co stanowi zachęcającą przesłankę do dalszych badań nad zastosowaniem leku w tym wskazaniu.

Bezpieczeństwo stosowania

Lek jest względnie dobrze tolerowany i nie daje poważnych lub nieodwracalnych efektów ubocznych. Do najczęstszych objawów niekorzystnych należy ból głowy o różnym nasileniu występujący z częstotliwością ok. 15-20% oraz bóle nadbrzusza, dłużej trwający ból w miejscu wkłucia, czy nasilanie objawów alergicznych (skórnych i śluzówkowych) występujących z częstotliwością między 5 a 10%.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Nie odnaleziono danych pozwalających na określenie parametrów użyteczności związanych z poprawą stanu zdrowia po włączeniu terapii mepolizumabem u pacjentów z zespołem Wellsa. Do dnia zakończenia prac nad niniejszym opracowaniem nie otrzymano odpowiedzi od ankietowanych ekspertów klinicznych.

Konkurencyjność cenowa

Cena pojedynczej dawki leku waha się między 3 000 - 5 000 zł. Minimalny czas trwania terapii to 3 dawki podawane w odstępach miesięcznych. Koszt miesięczny terapii to ok. 4 000 zł.

Dla alternatywnych technologii, koszty miesięcznej terapii wynoszą orientacyjnie:

Plaquenil - 90 zł, cyklosporyna - 600 zł, dapson - 15 zł, prednisolon - 120 zł, doxycyklina - 60 zł.

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

Koszt leczenia jednego pacjenta najkrótszym cyklem leczenia (3 dawki), obciążą płatnika publicznego kwotą ok. 14,84 tys. zł przy uwzględnieniu kosztu zgodnego z Obwieszczeniem Ministra Zdrowia. Przy przyjęciu średniej ceny na podstawie danych z portalu IKAR pro, koszt ten wynosiłby 8,96 tys. zł.

Wydatki płatnika publicznego przy założeniu, że pacjenci z populacji docelowej (40 osób) będą leczeni przez 12 miesięcy lekiem Nucala wyniosą od ok. 1,44 mln zł do ok. 2,37 mln zł odpowiednio, przy uwzględnieniu średniej ceny na podstawie danych z portalu IKAR pro i przyjęciu ceny z Obwieszczenia

Ministra Zdrowia. Z powodu braku danych epidemiologicznych nie można jednak oszacować wielkości grupy pacjentów potrzebujących wnioskowanego leczenia. Liczebność populacji docelowej jest prawdopodobnie zawyżona.

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

Odnalezione doniesienia literaturowe wskazują, iż podstawę leczenia zespołu Wellsa stanowi terapia immunosupresyjna. Prednizolon, cyklosporyna, dapson, plaqenil, antybiotyki tetracyklinowe są uważane za terapie skuteczne w zespole Wellsa. Problem terapeutyczny dotyczy nieznanego odsetka osób nie reagujących lub reagujących niedostatecznie dobrze na powyższe leki.

Terapię pierwszego rzutu są glikokortykosteroidy stosowane miejscowo lub systemowo. W przypadku niepowodzenia terapii GKS wskazuje się na stosowanie cyklosporyny, dapsonu oraz antybiotyków tetracyklinowych. Leki te, poza cyklosporyną, jak wynika z informacji załączonych do zlecenia Ministra Zdrowia były już stosowane w terapii pacjenta objętego wnioskiem.

Główne argumenty decyzji

Rada rekomenduje pozytywną opinię o podjęciu próby leczenia eksperymentalnego w trybie procedury RDTL oraz pozytywną opinię co do zastosowania procedury poza zarejestrowanymi wskazaniami, ze względu na:

- brak efektów prowadzonego wg wskazań i zaleceń dotychczasowego leczenia,
- korzystne i obiecujące, choć nieliczne, obserwacje kliniczne dotyczące efektu stosowania leku we wnioskowanym wskazaniu,
- względnie niskie koszty jednostkowe procedury,
- względnie dobrą tolerancję leku – brak poważnych czy nieodwracalnych efektów ubocznych,
- oczekiwanie pojawienia się korzystnych efektów leczenia już po pierwszej dawce,
- możliwości wycofania się z nieskutecznej terapii bez szkody dla pacjenta w trakcie jej trwania.

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 2019 r., poz. 1373), z uwzględnieniem opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, nr: OT.422.68.2019 „Nucala (mepolizumab) we wskazaniu: eozynofilowe zapalenie tkanki podskórnej (choroba Wellsa) (ICD-10: L98.3)”.
Data ukończenia: 4 września 2019 r.