



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

**Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 102/2019 z dnia 4 listopada 2019 roku
w sprawie oceny leku Signifor (pasireotidum) w ramach programu
lekowego: „Leczenie choroby Cushinga (ICD-10 E24.0)”**

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktów leczniczych:

- *Signifor (pasireotidum), proszek i rozpuszczalnik do sporządzania zawiesiny do wstrzykiwań, 20 mg, fiol. proszku + 1 amp.-strzyk. 2 ml rozp. + 1 igła + 1 łącznik fiolki, EAN: 05909991200305,*
- *Signifor (pasireotidum), proszek i rozpuszczalnik do sporządzania zawiesiny do wstrzykiwań, 40 mg, fiol. proszku + 1 amp.-strzyk. 2 ml rozp. + 1 igła + 1 łącznik fiolki, EAN: 05909991200312,*
- *Signifor (pasireotidum), proszek i rozpuszczalnik do sporządzania zawiesiny do wstrzykiwań, 10 mg, fiol. proszku + 1 amp.-strzyk. 2 ml rozp. + 1 igła + 1 łącznik fiolki, EAN: 07613421022365,*
- *Signifor (pasireotidum), proszek i rozpuszczalnik do sporządzania zawiesiny do wstrzykiwań, 30 mg, fiol. proszku + 1 amp.-strzyk. 2 ml rozp. + 1 igła + 1 łącznik fiolki, EAN: 07613421022372,*

w ramach programu lekowego „Leczenie choroby Cushinga (ICD-10 E24.0)”, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie ich bezpłatnie.

Rada Przejrzystości uważa za zasadne uwzględnienie dodatkowego instrumentu dzielenia ryzyka polegającego na wprowadzeniu maksymalnego pułapu finansowania przez płatnika publicznego („capping”).

Rada nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Nieleczona lub nieskutecznie leczona choroba Cushinga niesie ze sobą wysokie ryzyko zgonu w obserwacji średnioterminowej. Wnioskowane wskazanie refundacyjne jest zgodne ze wskazaniem rejestracyjnym dla dorosłych pacjentów, u których leczenie chirurgiczne nie jest możliwe lub zakończyło się niepowodzeniem. W 2018 r. Agencja wydała pozytywną opinię w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych leku Signifor (pasyreotyd),



podawanego domięśniowo, we wskazaniu: zespół Cushinga pochodzenia przysadkowego, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych (BIP Agencji 79/2018). Z kolei w 2013 r. Rada Przejrzystości i Prezes Agencji (Rekomendacja nr 99/2013 z dnia 5 sierpnia 2013 r.) wydali warunkowo pozytywne rekomendacje, w odniesieniu do podskórnej drogi podania leku, w programie lekowym „Leczenie dorosłych z chorobą Cushinga, u których leczenie chirurgiczne nie jest możliwe lub zakończyło się niepowodzeniem (ICD-10 E 24.0)”.

Zgodnie z obwieszczeniem Ministra Zdrowia z dnia 30 sierpnia 2019 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, żadne produkty lecznicze nie są obecnie finansowane ze środków publicznych we wskazaniu choroba Cushinga.

Dowody naukowe

Bardzo ograniczone dowody naukowe, obejmujące nieliczną populację, wskazują na prawdopodobną skuteczność pazyreotydu u części chorych z wnioskowanym wskazaniem. Brak jest jednak badań bezpośrednio porównujących wnioskowaną technologię z którymkolwiek z komparatorów lub z brakiem aktywnego leczenia. Leczenie farmakologiczne (m.in. pazyreotydem) ukierunkowane na czynność wydzielniczą guza przysadki jest rekomendowane przez niektóre z towarzystw naukowych. Zdaniem innych autorów skuteczność i bezpieczeństwo takich terapii farmakologicznych nie jest w pełni udokumentowana. Zdaniem ekspertów, żadna z interwencji farmakologicznych nie jest skuteczna u wszystkich chorych i konieczna jest indywidualizacja terapii. Stosowanie pazyreotydu wiąże się z częstym występowaniem zdarzeń niepożądanych, w tym ciężkich.

Problem ekonomiczny

Wyniki analiz użyteczności kosztów obarczone są bardzo dużym marginesem niepewności, znacznie ograniczającym możliwości wnioskowania. Refundacja leku związana będzie z [redacted] wydatków płatnika publicznego, istnieje jednak ryzyko niedoszacowania liczby potencjalnych uczestników programu. Ryzyko to można ograniczyć poprzez wprowadzenie dodatkowego RSS, w postaci przyjęcia pułapu finansowania przez płatnika publicznego.

Główne argumenty decyzji

Ograniczone dowody naukowe wskazują na prawdopodobną skuteczność pazyreotydu we wnioskowanym wskazaniu. Rada już wcześniej, warunkowo pozytywnie, opiniowała refundację innej postaci leku. Ryzyko związane z dużą niepewnością analiz farmakoekonomicznych można ograniczyć poprzez

wprowadzenie dodatkowego RSS („capping”).

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 784 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr: OT.4331.47.2019 „Wniosek o objęcie refundacją leku Signifor (pasyreotyd) w ramach programu lekowego: »Leczenie choroby Cushinga (ICD-10 E24.0)«”. Data ukończenia: 25 października 2019.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy Novartis Poland Sp. z o. o.

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Novartis Poland 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 2016 r., poz.1764 z późn. zm.) w zw. z art. 11 ust. 4 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2018 r., poz. 419).

Organ dokonujący wyłączenia jawności: Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji.

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Novartis Poland Sp. z o. o.