



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

Opinia Rady Przejrzystości  
nr 436/2019 z dnia 23 grudnia 2019 roku  
w sprawie substancji czynnej peginterferonum alfa-2a  
we wskazaniach pozarejestacyjnych: chłoniaki skórne T-komórkowe  
(ICD-10 C.84, C.84.0, C.84.1)

*Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną peginterferonum alfa-2a we wskazaniach pozarejestacyjnych: chłoniaki skórne T-komórkowe (ICD-10 C.84, C.84.0, C.84.1), pod warunkiem znacznego obniżenia ceny produktów zawierających tę substancję czynną.*

### Uzasadnienie

*Chłoniak skórny T-komórkowy (CTCL), obejmuje wiele form o zróżnicowanym, często powolnym przebiegu, którego całkowite wyleczenie rzadko jest możliwe. Choroba znacząco wpływa na obniżenie jakości i komfortu życia. CTCL należy do chorób rzadkich.*

*Nie odnaleziono zaleceń dotyczących stosowania pegylowanej formy interferonu alfa-2a w leczeniu pacjentów z CTCL. Jest on natomiast zalecany w leczeniu ziarniaka grzybiastego i choroby Sezary'ego.*

*Substancja czynna Peginterferonum alfa-2a była przedmiotem oceny w AOTMiT we wnioskowanym wskazaniu. W opinii Rady Przejrzystości nr 155/2019 z dnia 3 czerwca 2019 roku, stwierdzono, że brak jest uzasadnienia dla objęcia refundacją leków zawierających ww. substancję czynną we wskazaniach pozarejestacyjnych, w tym zgodnych z przedmiotowym zleceniem. W uzasadnieniu wskazano, iż nie zidentyfikowano wystarczających dowodów naukowych wskazujących na pozytywny bilans między skutecznością a ryzykiem stosowania peginterferonów we wskazaniach wymienionych w zleceniu. Rada Przejrzystości uzasadniła swoją opinię także faktem, iż pacjenci mają dostęp do interferonów w formie niepegylowanej. W lipcu 2019 roku, producent niepegylowanej formy interferonu alfa-2a opublikował jednak informację o wstrzymaniu dystrybucji leku w Polsce. Pozwolenie na dopuszczenie do obrotu produktu w Polsce straciło ważność. W Urzędowym Wykazie Produktów Leczniczych brak jest obecnie innych produktów leczniczych zawierających interferon alfa - 2a.*



*Liczba pacjentów z rozpoznaniem zgodnym ze wskazanym w zleceniu w latach 2016-2018 wyniosła 1618. Przy założeniu, że u wszystkich pacjentów zastosowane byłoby leczenie peginterferonem alfa-2a, przez 48 tygodni przy zastosowaniu dawki 180 µg, roczny koszt dla przez płatnika publicznego byłby wysoki i wyniósłby 56 809 662,72 zł.*

*Z uwagi na brak empirycznych danych lub opinii ekspertów, pozwalających na ocenę realnej liczebności populacji, powyższe oszacowanie należy traktować jako scenariusz maksymalny.*

*Rada zwraca uwagę, iż łączne wydatki płatnika publicznego nie powinny znacząco przekroczyć dotychczasowych kwot wydawanych na interferon niepegylowany i tym samym cena peginterferonu alfa-2a powinna być znacznie obniżona.*

#### **Przedmiot zlecenia**

Zlecenie Ministra Zdrowia, zawarte w piśmie PLR.4604.1563.2019.AP z dnia 05.12.2019 r., dotyczyło wydania opinii Rady Przejrzystości w sprawie substancji czynnej peginterferonum alfa-2a, we wskazaniach pozarejestacyjnych: chłoniaki skórne T-komórkowe (ICD-10 C.84, C.84.0, C.84.1).

#### **Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 40 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.).

Wykorzystane źródła danych:

1. Opracowanie na potrzeby oceny zasadności objęcia refundacją leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego, raport nr: WS.4320.14.2019 „Peginterferonum alfa-2a we wskazaniu: chłoniaki skórne T-komórkowe (ICD-10 C.84, C84.0, C84.1). Data ukończenia: 18.12.2019 r.