



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 147/2020 z dnia 15 czerwca 2020 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Soliris (eculizumab) we wskazaniu: zespół hemolityczno-mocznicowy (ICD-10: D59.3)

Rada Przejrzystości uważa za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Soliris (eculizumab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, we wskazaniu: zespół hemolityczno-mocznicowy (ICD-10: D59.3).

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Mikroangiopatia zakrzepowa / zespół hemolityczno-mocznicowy (thrombotic microangiopathy, TMA) jest terminem histopatologicznym opisującym zróżnicowaną grupę chorób, które ujawniają się zmianami hematologicznymi w postaci niedokrwistości hemolitycznej, małopłytkowości oraz uszkodzeniem narządowym o charakterze zmian zakrzepowych w różnych narządach. TMA występuje w dużej grupie chorób i może mieć różne podłoże patofizjologiczne. Zalicza się do nich wrodzoną i nabytą postać zakrzepowej plamicy małopłytkowej (TTP) związanej z brakiem lub niską aktywnością ADAMTS13, STEC-HUS, atypowy zespół hemolityczno-mocznicowy (aHUS) związany z zaburzeniami układu dopełniacza czy HUS wywołany rzadkimi wrodzonymi zaburzeniami witaminy B12 lub mutacjami genów białek układu krzepnięcia. Każda z wymienionych wyżej chorób ma odmienną patofizjologię, która warunkuje jej odrębne leczenie. Zmiany o charakterze TMA obserwowane są ponadto u chorych z innymi infekcjami, u kobiet w ciąży lub w połogu, w chorobach autoimmunologicznych, w nadciśnieniu złośliwym, w nowotworach oraz jako powikłanie przeszczepienia narządu unaczynionego lub szpiku.

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Retrospektywne, obserwacyjne badanie przeprowadzone w MD Anderson Cancer Center, USA, którego celem była ocena skuteczności terapii ekulizumabem w porównaniu do konwencjonalnej terapii u pacjentów z zdiagnozowanym TA-TMA po allogenicznym HSCT. W badaniu wzięło udział 20 pacjentów, u których



między sierpniem 2011 r. a wrześniem 2016 r. zdiagnozowano TA-TMA. Pacjentów podzielono na 2 grupy: 10 pacjentów po allogenicznym HSCT przeprowadzonym pomiędzy sierpniem 2011 a majem 2015 leczonych konwencjonalną terapią (leki immunosupresyjne, wymiana plazmy i / lub inne środki wspomagające) i 10 pacjentów po allogenicznym HSCT przeprowadzonym pomiędzy styczniem 2013 a wrześniem 2016 leczonych ekulizumabem. Żaden z pacjentów w grupie stosującej konwencjonalną terapię nie uzyskał odpowiedzi hematologicznej lub całkowitej. W grupie pacjentów leczonych ekulizumabu siedmiu pacjentów uzyskało odpowiedź hematologiczną, jeden pacjent osiągnął całkowitą odpowiedź.

Bezpieczeństwo stosowania

Leczenie ekulizumabem było dobrze tolerowane, z wyjątkiem pojedynczych przypadków ciężkiej wysypki skórnej, która wymagała odstawienia leku.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania została oceniona przez EMA na etapie rejestracji. W związku z faktem, że lek zarejestrowano w leczeniu atypowego zespołu hemolityczno-mocznicowego (aHUS), można wnioskować, że relacja ta jest pozytywna.

Konkurencyjność cenowa

Według wniosku załączonego do zlecenia MZ podano koszt 1 cyklu terapii ekulizumabem i pozostaje [REDAKTOWANE] na podstawie Obwieszczenia MZ.

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

Nie jest znana liczba pacjentów, u których można zastosować wnioskowaną technologię lekową w ramach RDTL.

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

Jako technologię alternatywną, na podstawie odnalezionych wytycznych klinicznych uznano lenwatynib (produkt Lenvima). Nie odnaleziono danych dotyczących ceny produktu leczniczego Lenvima na rynku polskim.

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 późn. zm.), opracowania nr: OT.422.55.2020 „Soliris (ekulizumab) we wskazaniu: zespół hemolityczno-mocznicowy (ICD-10: D59.3)”, data ukończenia: 10.06.2020 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy Alexion Europe SAS.

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Alexion Europe SAS 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: Alexion Europe SAS.