



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 206/2020 z dnia 31 sierpnia 2020 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Mabthera (rytuksymab) we wskazaniu: inne określone niedokrwistości aplastyczne (ICD-10:D61.8) u pacjentów z przewlekłym zakażeniem EBV

Rada Przejrzystości uważa za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Mabthera (rytuksymab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, we wskazaniu: inne określone niedokrwistości aplastyczne (ICD-10:D61.8) u pacjentów z przewlekłym zakażeniem EBV.

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Pacjentka będąca pod opieką Instytutu Hematologii i Transfuzjologii od 2014 r. z powodu rozpoznania hypoplastycznego zespołu mielodysplastycznego. Aktualnie chora ma pancytopenię (na podstawie trepanobiopsji wykazano anemią aplastyczną) oraz wirusem Epsteina i Barr (EBV), potwierdzoną wykryciem jego DNA. Jest to wirus onkogenny, lokalizujący się w limfocytach T, sprzyjający zwłaszcza rozrostowi układu limfatycznego. Przyczyną pancytopenii jest najczęściej reakcja autoimmunologiczna limfocytów T, skierowana przeciwko macierzystym komórkom układu krwiotwórczego. W ciągu 2 lat umiera ok. 80% chorych z ciężką anemią aplastyczną, niepoddanych leczeniu przyczynowemu. Najczęstszą przyczyną zgonu są ciężkie zakażenia bakteryjne lub grzybicze (zwłaszcza inwazyjna aspergiloza płuc). Pacjentka ma też hemochromatozę, dotyczącą głównie wątroby, wywołaną częstymi przetoczeniami KKCz.

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Nie odnaleziono badań oceniających skuteczność kliniczną rytuksymabu. Identyfikowano jedynie opisy poszczególnych przypadków. Rytuksymab był skuteczny w 2 z 4 oddzielnie opisanych przypadków aplastycznej pancytopenii współistniejącej z chorobami EBV-zależnymi, u których obserwowano szybki spadek miana EBV-DNA w surowicy.



Rytuksymab zalecany jest u chorych z infekcją EBV po allogenicznym przeszczepieniu komórek macierzystych układu krwiotwórczego. Omawiane wskazanie jest pozarejestacyjne (off-label).

Zgodnie z opinią KW w dziedzinie chorób zakaźnych): „(...) u pacjentki „immunosupresyjnej” nastąpiła reaktywacja latentnego zakażenia EBV, z wysokim ładunkiem wirusa w surowicy, który utrzymuje się stale. Wysoka wiremia DNA-EBV wpływa niekorzystnie na układ krwiotwórczy i będzie nasilała pancytopenię. Rozważanie podania rytuksymabu w tej sytuacji staje się jedyną możliwą opcją terapeutyczną”.

Bezpieczeństwo stosowania

Lek jest dość powszechnie stosowany w innych wskazaniach, m.in. w leczeniu chłoniaków nieziarniczych i jego bezpieczeństwo jest znane, a działania niepożądane akceptowalne.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Nie oceniano.

Konkurencyjność cenowa

Według wniosku załączonego do zlecenia MZ, koszt 4 tygodniowej terapii (4 wlewy po 648,75 mg w odstępach tygodniowych) wynosi ██████████ zł brutto. Koszt ten jest ██████████ od wyliczonego na podstawie obwieszczenia MZ oraz ██████████ od kosztu innych leków zawierających rytuksymab, znajdujących się na Obwieszczeniu MZ (leki biopodobne: Blitzima i Riximyo).

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

Nie ma danych dotyczących wielkości populacji podobnych chorych, ale można sądzić, że jest ona niewielka.

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

Pacjentka była leczona prednisonem i cyklosporyną, które należało odstawić z powodu zwiększania replikacji EBV. Bezskutecznie leczono też chorą agonistą receptora trombopoetyny (Revolade. Eltrombopaq).

Uwaga Rady

Rada uważa, że powinien być stosowany najtańszy preparat rytuksymabu, dostępny w Polsce.

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 2020 r., poz. 1398), z uwzględnieniem opracowania nr:

OT.422.88.2020 „Mabthera (rytuksymab) we wskazaniu: inne określone niedokrwistości aplastyczne (ICD-10:D61.8) u pacjentów z przewlekłym zakażeniem EBV”, data ukończenia: 27.08.2020 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone kolorem czarnym stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców (Roche Polska Sp. z o.o.).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Roche Polska 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: Roche Polska Sp. z o.o.