



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 216/2020 z dnia 7 września 2020 roku

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

Rada Przejrzystości uważa za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Soliris (ekulizumab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, fiołka á 300 mg /30 ml, we wskazaniu: atypowy zespół hemolityczno - mocznicowy (aHUS) (ICD - 10: D59.3).

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Atypowy zespół hemolityczno-mocznicowy (ang. atypical hemolytic uremic syndrome, aHUS) to mikroangiopatia zakrzepowa z małopłytkowością i niedokrwistością hemolityczną, spowodowana niekontrolowaną aktywacją układu dopełniacza, z dominującym w obrazie klinicznym upośledzeniem czynności nerek. Skutkiem następstw ocenianej choroby jest przedwczesny zgon. W ciągu 3 lat od zachorowania na aHUS do ciężkiej przewlekłej niewydolności nerek lub zgonu dochodzi u 40-50% chorych.

Pacjent, którego dotyczy wniosek nie spełnia kryteriów rozpoznania zespołu hemolityczno-mocznicowego (brak cech niewydolności nerek - prawidłowe stężenie kreatyniny w surowicy, podwyższone stężenie mocznika wskutek katabolizmu) i w związku z powyższym nie może w chwili obecnej być zakwalifikowany do leczenia ekulizumabem w ramach programu lekowego "Leczenie atypowego zespołu hemolityczno-mocznicowego." Wobec nasilenia zmian mikroangiopatycznych na skórze, wywiadu krwawienia do pęcherzyków płucnych (przy drugim epizodzie przy zadowalającej ilości płytek), wykładników mikroangiopatii narządowej (trombocytopenia, podwyższone LDH, obniżenie stężenia haptoglobiny, obecność schistocytów w rozmazie, białkomocz, stężenie dopełniacza CH50 nieco poniżej normy) pacjent wypełnia wskazania do podania ekulizumabu w przebiegu mikroangiopatii zakrzepowej związanej z przeszczepem szpiku (jest to chory z izolowaną wznową ALL T-komórkową).



Skuteczność kliniczna i praktyczna

Podstawę do oceny efektywności klinicznej i praktycznej stanowią 3 opublikowane badania (jednoramienne badanie prospektywne 2 fazy, badanie obserwacyjne na podstawie danych z rejestru chorych na aHUS oraz prospektywne badanie obserwacyjne pisujące wynik przedłużonej obserwacji uczestników wcześniejszych badań klinicznych). Wyniki badań wskazują na skuteczność ekulizumabu w odniesieniu do mikroangiopatii zakrzepowej oraz poprawy w zakresie funkcji nerek.

Produkt leczniczy Soliris (ekulizumab) był już przedmiotem oceny Agencji w 2020 r., w ramach RDTL we wskazaniu zespół hemolityczno-mocznicowy (ICD-10: D59.3). Zarówno Rada Przejrzystości i Prezes Agencji uznali za zasadne finansowanie ze środków publicznych wnioskowanej technologii [ORP 147/2020; RPA 65/2020].

Bezpieczeństwo stosowania

Większość raportowanych w trakcie badania zdarzeń niepożądanych związanych z leczeniem miała charakter łagodny lub umiarkowany. Nie raportowano zgonów ani zakażeń meningokokowych.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania została oceniona pozytywnie na etapie rejestracji leku.

Konkurencyjność cenowa

Koszt 3 miesięcy terapii produktem leczniczym Soliris (ekulizumab) jest bardzo wysoki.

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

Ze względu na brak danych nie jest możliwe oszacowanie liczby 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

Dla ocenianej technologii lekowej nie ma technologii alternatywnej, rozumianej jako aktywne leczenie.

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.422.95.2020 „Soliris (ekulizumab) we wskazaniu: atypowy zespół hemolityczno - mocznicowy (aHUS) (ICD-10: D59.3)”, data ukończenia: 2 września 2020 r.