



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 15/2021 z dnia 8 lutego 2021 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację produktu
lecniczego Leukine (sargramostim)

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację produktu leczniczego Leukine (sargramostim), fiołki á 250 mcg we wskazaniu: autoimmunologiczna proteinoza pęcherzyków płucnych (APAP) po nieskutecznym płukaniu płuc (WLL) lub przeciwwskazań do jego zastosowania.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Proteinoza pęcherzyków płucnych (ang. pulmonary alveolar proteinosis. PAP) jest rzadką chorobą płuc polegającą na gromadzeniu się w pęcherzykach płucnych surfaktantu, upośledzającego wymianę gazową i prowadzącego u większości chorych do stopniowego pogorszenia stanu zdrowia. Przeżywalność 10-letnia wynosi około 70%.

Leukine nie posiada pozwolenia na dopuszczenie do obrotu na terenie Polski, a wnioskowane wskazanie nie zawiera się we wskazaniu rejestracyjnym. Leukine był przedmiotem oceny Agencji w sierpniu 2020 roku we wskazaniu: autoimmunologiczna proteinoza pęcherzyków płucnych (APAP), a Rada Przejrzystości uznała wówczas za zasadne jego finansowanie. Prezes Agencji nie rekomendował jednak finansowania leku.

Stosowanie sargramostymu rekomendowane jest w UpToDate 2020, ale nie wymieniane w innych stanowiskach towarzystw naukowych. Konsultantka krajowa w dziedzinie chorób płuc uznaje jego stosowanie za zasadne.

Dowody naukowe

Dowody naukowe pochodzą z pojedynczej próby klinicznej prowadzonej na małej populacji chorych o nieco odmiennej charakterystyce klinicznej. W badaniu uzyskano jednak istotne różnice na korzyść sargramostymu w porównaniu z placebo między innymi dla wyniku zmodyfikowanej skali duszności i przewidywanej DLco.



Problem ekonomiczny

Nie odnaleziono żadnych rekomendacji refundacyjnych dotyczących przedmiotowej technologii, populacja docelowa nie została dokładnie określona, jednak na podstawie dokumentacji można wnioskować, że problem dotyczy pojedynczej chorej. Koszt 24-tygodniowej terapii jest umiarkowanie wysoki jednak wpływ terapii 1 pacjenta na budżet płatnika publicznego będzie bardzo mały.

Główne argumenty decyzji

Proteinoza pęcherzyków płucnych jest chorobą bardzo rzadką. Dowody naukowe i opinia konsultanta krajowego wskazują na możliwą skuteczność interwencji. Wpływ terapii na budżet płatnika publicznego będzie bardzo mały.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust. 2 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2020 r., poz. 1398) oraz w zw. z art. 39 ust. 3 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2020 r., poz. 357, z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania nr: OT.4311.27.2020 „Leukine (sargramostym) we wskazaniu: autoimmunologiczna proteinoza pęcherzyków płucnych (APAP) po nieskutecznym płukaniu płuc (WLL) lub przeciw wskazań do jego zastosowania”, data ukończenia: 01.02.2021 r.