



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 113/2022 z dnia 28 listopada 2022 roku
w sprawie oceny leku Trepulmix (treprostynil) w ramach
programu lekowego „Leczenie przewlekłego zakrzepowo-zatorowego
nadciśnienia płucnego (CTEPH) (ICD-10 I27, I27.0 i/lub I26)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego:

- 1. Trepulmix (treprostynil), roztwór do infuzji, 10 mg/ml, 1, fiol. 10 ml, kod GTIN: 05407008550042,*
- 2. Trepulmix (treprostynil), roztwór do infuzji, 5 mg/ml, 1, fiol. 10 ml, kod GTIN: 05407008550059,*
- 3. Trepulmix (treprostynil), roztwór do infuzji, 2,5 mg/ml, 1, fiol. 10 ml, kod GTIN: 05407008550066,*

w ramach programu lekowego „Leczenie przewlekłego zakrzepowo-zatorowego nadciśnienia płucnego (CTEPH) (ICD-10 I27, I27.0 i/lub I26)”, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Przewlekłe zakrzepowo-zatorowe nadciśnienie płucne (CTEPH) jest chorobą o złym rokowaniu znacznie pogarszającą jakość życia chorych. Chorzy ci są aktualnie leczeni w Polsce w ramach programu lekowego.

Trepulmix (TRE) jest wskazany w leczeniu dorosłych pacjentów w III lub IV klasie czynnościowej według WHO oraz:

- z nieoperacyjnym przewlekłym CTEPH lub*
- trwałym lub nawracającym CTEPH po leczeniu chirurgicznym w celu poprawy wydolności wysiłkowej.*

Aktualny problem decyzyjny polega na rozszerzeniu istniejącego programu lekowego w taki sposób, aby objąć refundacją treprostynilu (TRE) u pacjentów z IV klasą czynnościową wg NYHA/WHO oraz wprowadzić możliwość leczenia pacjentów z II/III klasą czynnościową wg NYHA/WHO kolejną linią leczenia po niepowodzeniu/nietolerancji zastosowania riociguatu (RIOG) w monoterapii.

Pacjenci z IV klasą czynnościową wg NYHA/WHO byliby docelowo leczeni schematem RIOCI+TRE; w przypadku przeciwwskazań lub złej tolerancji na terapię TRE, pacjenci otrzymywaliby RIOCI w monoterapii; natomiast w przypadku przeciwwskazań do dołączenia RIOCI w ramach terapii skojarzonej (RIOCI+TRE) pacjenci otrzymywaliby TRE w monoterapii.

U pacjentów z II/III klasą czynnościową wg NYHA/WHO kolejną linią leczenia po niepowodzeniu zastosowania RIOCI w monoterapii byłaby terapia skojarzona RIOCI +TRE, w przypadku niewystarczającej skuteczności RIOCI w monoterapii stosowanego w leczeniu początkowym oraz monoterapia TRE, gdy nietolerowane jest leczenie RIOCI stosowane w leczeniu początkowym.

Dowody naukowe

Analiza kliniczna opiera się głównie na randomizowanym badaniu klinicznym Sadushi Kolic Lancet 2019 (badanie CTREPH), w którym porównano stosowanie TRE w wysokiej dawce z TRE w niskiej dawce. Wykazano w nim istotne statystycznie zwiększenie dystansu przebytego w teście 6-minutowego (6MWD) chodu w 24 tygodniu badania przy stosowaniu TRE (wysoka dawka) w porównaniu z TRE (niska dawka), średnia (SD): 45,4 (71,3) vs 3,8 (56,2); $p=0,00028$.

W otwartym badaniu Skoro-Sajer 2017 średni wzrost 6-MWD w grupie leczonej TRE wynosił 59 m (z 260 ± 111 m do 319 ± 117 m, $P<0.01$). Wykazano tam również poprawę 5-letniego przeżycia całkowitego w grupie pacjentów stosujących TRE w porównaniu z brakiem terapii (53% vs 16%; $p=0,02$).

W najnowszych wytycznych ESC/ERS 2022 wskazano, że treprostynil s.c. można rozważyć u pacjentów w III i IV klasie czynnościowej wg WHO z nieoperacyjnym CTEPH lub przetrwałym/nawrotowym PH po PEA [IIa, B]. W dokumencie wskazano także, że u pacjentów z nieoperacyjnym CTEPH można rozważyć połączenie stymulatora sGC (riocyguat)/PDE5i, ERA lub pozajelitowych analogów prostacykliny (treprostynil) [IIb, C].

Problem ekonomiczny

Terapia nie jest efektywna kosztowo. Oszacowany ICUR dla porównania z monoterapią riocyguatem wyniósł 1 765 335,95 PLN/QALY.

Po wprowadzeniu wnioskowanej technologii do refundacji koszty z perspektywy wspólnej zwiększą się w kolejnych latach bez RSS o 31,2 mln PLN oraz 35 mln PLN.

Główne argumenty decyzji

- Brak efektywności kosztowej, wielokrotnie przekroczony ustawowy próg efektywności kosztowej,
- Znaczny wpływ na budżet płatnika,
- Brak wiarygodnych wyników badań naukowych wskazujących na przewagę nad innymi lekami stosowanymi w nadciśnieniu płucnym.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2022 r., poz. 463), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 1285 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr OT.4231.32.2022 „Wniosek o objęcie refundacją leku Trepulmix (treprostynil) w ramach programu lekowego: »Leczenie przewlekłego zakrzepowo-zatorowego nadciśnienia płucnego (CTEPH) (ICD-10 I27, I27.0 i/lub I26)«”; data ukończenia 17.11.2022 r.