



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 115/2023 z dnia 25 września 2023 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku Forsteo
(teryparatyd) we wskazaniu: niedoczynność przytarczyc

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację leku Forsteo (teriparatidum), roztwór do wstrzykiwań 20 mcg/80 mcl, we wskazaniu: niedoczynność przytarczyc.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Lek Forsteo (teryparatyd), rekombinowany ludzki parathormon zawierający 1-34 N-końcowych aminokwasów tego hormonu, jest zarejestrowany do leczenia osteoporozy u osób dorosłych. W piśmie Ministra Zdrowia z 11.09.2023 wskazano, że zlecenie dotyczy osoby dorosłej z pozabiegową, ciężką niedoczynnością przytarczyc, co stanowi wskazanie pozarejestracyjne dla leku Forsteo. Dotąd złożono 5 wniosków o refundację w ramach importu docelowego (łącznie 21 ampułkostrzykawkę leku Forsteo).

Wcześniej lek Forsteo nie było oceniany przez AOTMiT w przedmiotowym wskazaniu.

Dowody naukowe

Przegląd systematyczny 25 badań (n=588 w wieku od 7 do 78 lat) z metaanalizą (Puliani 2022) ocenił skuteczność i bezpieczeństwo stosowania analogów parathormonu 1-84 (10 badań) i 1-34 (15 badań) w leczeniu przewlekłej niedoczynności przytarczyc, która w 70% była pooperacyjna. Wykazano znamienne statystycznie spadek stężenia fosforanów, ale nie wapnia czy stężenia 25OH witaminy D, w surowicy krwi po zastosowaniu parathormonu 1-34. Stwierdzono znamienne statystycznie zwiększenie iloczynu wapniowo-fosforanowego oraz redukcję zapotrzebowania dziennego na wapń i kalcytriol u leczonych tym analogiem parathromonu.

Wytyczne (ATA 2018, CIC 2022, ITS 2022 oraz SIW 2022) rekomendują podawanie wapnia i aktywnych analogów witaminy D w pierwszej linii leczenia niedoczynności przytarczyc, a jeśli jest nieskuteczną, zaleca się terapię rekombinowanym ludzkim parathormonem. Wytyczne CIC 2022 i SIW 2022 wskazały rekombinowany ludzki parathormon 1-84, podczas gdy wytyczne

ITS 2022 i ATA 2018 nie precyzują rodzaju analogu parathromonu. Wykazano, że rekombinowany ludzki parathormon 1-34 zwiększa stężenie wapnia w surowicy, zmniejsza wydalania wapnia, a zwiększa wydalanie fosforanów z moczem.

Łagodne efekty niepożądane analogów parathromonu obserwowano u 67% leczonych. Najczęstszymi działaniami niepożądanymi związanymi ze stosowaniem leku Forsteo są nudności, bóle kończyn, bóle i zawroty głowy. Leczenie jest ogólnie dobrze tolerowane.

Eksperci kliniczni popierają dostępność leku Forsteo dla chorych z pozabiegową, ciężką niedoczynnością przytarczyc, u których inne sposoby leczenia okazały się nieskuteczne.

Problem ekonomiczny

Szacuje się, że maksymalna wielkość populacji, u której może być zastosowana oceniana technologia wynosi 38-77 pacjentów (1-2 osoby na 100 osób z pooperacyjną niedoczynnością przytarczyc). Roczny koszt płatnika publicznego stosowania leku Forsteo u jednego pacjenta według danych z Ministerstwa Zdrowia ze stycznia 2023 r. wyniósł ok. 41 241 zł. Szacowane koszty płatnika publicznego wyniosą od 1,57 mln zł do 3,12 mln zł rocznie.

Główne argumenty decyzji

W Polsce nie są refundowane analogi parathromonu, a produkt leczniczy Natpar (rekombinowany ludzki parathromon 1-84), nie jest produkowany do końca 2024 roku. Dostępność leku Forsteo dla chorych z ciężką niedoczynnością przytarczyc po operacji jest wskazana, a wobec małej liczby chorych z takim wskazaniem koszt dla płatnika publicznego jest akceptowalny.

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 2022 r., poz. 2561 z późn. zm.) 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 2022 r., poz. 2555 z późn. zm.), z uwzględnieniem Opracowania na potrzeby oceny zasadności wydawania zgody na refundację nr: OT.4211.10.2023 „Forsteo (teryparatyd) we wskazaniu: niedoczynność przytarczyc”; data ukończenia: 21 września 2023 r.