



Opinia Rady Przejrzystości
nr 29/2024 z dnia 26 lutego 2024 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną
rytuksymab we wskazaniu pozarejestacyjnym: miastenia

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją substancji czynnej rytuksymab we wskazaniu pozarejestacyjnym: miastenia, w ramach programu lekowego.

Uzasadnienie

Częstość występowania miastenii wynosi 50-125/mln, roczna zapadalność – 2-4/mln. MG dotyczy zarówno mężczyzn, jak i kobiet, występują 2 szczyty zachorowań: do 40. r.ż. (2-3 razy częściej chorują kobiety) i po 60. r.ż. (częściej chorują mężczyźni). Stwierdzono wzrastającą częstość miastenii z autoprzeciwciałami przeciwko receptorowi AChR wśród osób starszych. Obecna liczba zachorowań w Polsce wynosi 8690 pacjentów.

Rytuksymab od kilkunastu lat jest stosowany w terapii miastenii (Vesperinas-Castro & Cortés- Vicente, 2023, Narayanaswami et al., 2021; Sanders et al., 2016). Pod koniec 2023 roku ukazały się wytyczne leczenia zespołów miastenicznych opracowane przez ekspertów z ośrodków niemieckich, austriackich oraz szwajcarskich (Wiendl et al., 2023), uwzględniające wyniki najnowszych badań klinicznych. W zaleceniach tych zarekomendowano rozważenie stosowania rytuksymabu jako opcja leczenia immunosupresyjnego pierwszego wyboru (w połączeniu lub bez połączenia ze steroidami i/lub innymi niesteroidowymi lekami immunosupresyjnymi) u pacjentów z wysoką aktywnością choroby. Terapia rytuksymabem jest szczególnie korzystna u pacjentów z przeciwciałami anti-MuSK. W pozostałych grupach pacjentów (z przeciwciałami anti-AChR lub seronegatywnych) terapia ta jest kierowana do osób z agresywnym przebiegiem choroby.

Ekspert podkreśla, że terapia anti-CD20 (np. rytuksymabem) jest jednym z aktualnych standardów, obok inhibitorów C5 dopełniacza oraz modulatorów nFcR, leczenia miastenii o agresywnym przebiegu. W przypadku pacjentów z przeciwciałami anti-MuSK jest to terapia pierwszego wyboru. Nie zastępuje innych terapii, ale jest do nich komplementarna i może zmniejszyć ilość osób wymagających droższych leków takich jak efgartigimod czy rawulizumab.

Zgodnie z oszacowaniami roczny koszt stosowania rytuksymabu we wnioskowanej populacji wyniesie od 422 tys. zł do maksymalnie 4,919 mln zł.

Główne argumenty decyzji

- *Niezaspokojona potrzeba u pacjentów z miastenią oraz fakt, że tradycyjne terapie immunosupresyjne nie zawsze są skuteczne i mogą wiązać się ze znaczącymi działaniami niepożądanymi;*
- *Stosowanie rytuksymabu na wcześniejszym etapie ścieżki klinicznej MG o wczesnym początku może stanowić skuteczną opcję leczenia dla pacjentów i ograniczać stosowanie długoterminowych steroidów, a także może eliminować lub opóźniać potrzebę stosowania innych terapii immunosupresyjnych.*

Uwaga do zapisu programu

Nie można jednoznacznie wskazać optymalnego schematu dawkowania rytuksymabu. W piśmiennictwie brak jest jednoznacznych zaleceń odnośnie odpowiedniej dawki, czy podziału na schemat leczenia inicjujący oraz podtrzymujący. Rada przychyliła się do opinii konsultanta, że istnieje kliniczne uzasadnienie, aby w leczeniu podtrzymującym również była możliwość stosowania dawki inicjującej.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2023 r., poz. 2555 z poz. 826), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem opracowania nr: OT.422.1.6.2024 „Rytuksymab we wskazaniu pozarejestacyjnym: miastenia w ramach programu lekowego”; data ukończenia: 21 lutego 2024 r.