



Opinia Rady Przejrzystości
nr 21/2024 z dnia 19 lutego 2024 roku
w sprawie zasadności wprowadzenia kompleksowej zmiany
dotychczasowej treści programu lekowego B.32 „Leczenie pacjentów
z chorobą Leśniowskiego – Crohna (ICD-10: K50)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wprowadzenie kompleksowej zmiany dotychczasowej treści programu lekowego B.32 „Leczenie pacjentów z chorobą Leśniowskiego – Crohna (ICD-10: K50)”

Uzasadnienie

Choroba Leśniowskiego-Crohna (ChL-C) jest pełnościennym, przeważnie ziarniniakowym zapaleniem, które może dotyczyć każdego odcinka przewodu pokarmowego od jamy ustnej aż do odbytu. Choroba ma przebieg przewlekły, wieloletni, zwykle występują naprzemienne okresy zaostrzeń i remisji, ale też często objawy utrzymują się stale i powodują znaczną niepełnosprawność oraz konieczność operacji z powodu powikłań (nawroty po operacji sięgają do 70%).

Zaproponowane zmiany w dotychczasowym opisie programu lekowego: B.32 „Leczenie pacjentów z chorobą Leśniowskiego – Crohna” obejmują:

1. *Objęcie leczeniem szerszej populacji z chorobą Leśniowskiego – Crohna:*
 - 1.1 *włączenie populacji z umiarkowaną postacią ChL-C (zarówno dorosłych jak i dzieci od 6 lat), przy braku odpowiedzi na leczenie glikokortykosteroidami, lub lekami immunosupresyjnymi, lub innymi inhibitorami TNF alfa (iTNF), lub przy występowaniu przeciwwskazań lub objawów nietolerancji takiego leczenia,*
 - 1.2 *włączenie pacjentów z ChL-C cechującą się wytworzeniem przetok okołodobytowych, którzy nie odpowiedzieli na leczenie podstawowe: antybiotyki, leki immunosupresyjne, leczenie chirurgiczne oraz po niepowodzeniu anty-TNF alfa - niezależnie od nasilenia,*
 - 1.3 *włączenie pacjentów po odcinkowej resekcji jelita z powodu ChL-C, u których badanie endoskopowe wykonane w ramach nadzoru wykazało zmiany zapalne w okolicy zespolenia (≥ 2 punktów w skali Rutgeerts) lub w innych odcinkach jelita, pomimo stosowanego leczenia immunosupresyjnego lub po przerwaniu leczenia immunosupresyjnego*

z powodu powikłań lub nietolerancji – wyłącznie w przypadku leczenia infliksymabem lub adalimumabem.

- 2. Umożliwienie leczenia ustekinumabem w 1. linii leczenia.*
- 3. Umożliwienie kontynuacji terapii rozpoczętej w ramach innych źródeł finansowania.*
- 4. Zastąpienie zapisów o przeciwwskazaniach stosownymi zapisami w kryteriach kwalifikacji odnoszącymi się do ChPL.*
- 5. Odwołania do aktualnych ChPL.*
- 6. Wydłużenie okresu interwału badań monitorujących w przypadku preparatów podskórnych podawanych w domu.*
- 7. Liczne zmiany i uzupełnienia porządkujące.*
- 8. Uproszczenie i standaryzację budowy programu lekowego.*

Dowody naukowe

W znacznej większości przedstawione zmiany były zgodne z zapisami w ChPL odpowiednich produktów leczniczych oraz wytycznymi klinicznymi tj. polskimi PTG 2021, europejskimi ECCO 2020 oraz ECCO ESOPHAGN 2021 i amerykańskimi AGA 2021, bądź były to zmiany redakcyjne mające na celu uporządkowanie, uproszczenie i standaryzację budowy programu lekowego. Zmiana, która nie była zgodna z ChPL dla INF dotyczyła rozszerzenia stosowania w populacji pediatrycznej o postać umiarkowaną ChL-C (w populacji pediatrycznej ten lek jest wskazany do stosowania w ciężkiej postaci choroby). Natomiast wytyczne ECCO ESOPHAGN 2021 wskazują na zasadność stosowania iTNF u pacjentów pediatrycznych z umiarkowaną postacią ChL-C, powołując się na wyniki badań.

Przeanalizowano również objęcie dodatkowo refundacją upadacytynibu w analogicznych wskazaniach jak wedolizumab i ustekinumab tj. po wcześniejszym niepowodzeniu leczenia anty TNF-alfa. Lek Rinvoq, zawierający substancję czynną upadacytynib, był przedmiotem oceny Agencji (OT.432.1.36.2023), w węższym wskazaniu, tj. leczenie pacjentów z chorobą Leśniowskiego-Crohna u pacjentów dorosłych z ciężką postacią ChL-C. Stanowisko Rady Przejrzystości (nr 124/2023) oraz rekomendacja Prezesa Agencji (nr 125/2023) były negatywne ww. wskazaniu, głównie ze względu na brak efektywności kosztowej (w uwagach Rada wskazała, że zasadnym jest rozważenie refundacji leku po pogłębieniu RSS co najmniej do uzyskania efektywności kosztowej w stosunku do komparatorów lub obniżeniu ceny leku). Zgodnie z aktualnymi danymi z NFZ średni koszt 1 mg upadacytynibu refundowanego w ramach PL B.33, B.35, B.36 oraz B.124 jest zgodny z ceną efektywną leku według pisma władz NFZ. Dodać należy, że upadacytynib został zarejestrowany w ocenianym wskazaniu w 2023 r.

W opinii ekspertów (konsultant krajowy i konsultant wojewódzki w dziedzinie gastroenterologii) zarówno zaproponowane zmiany zapisów programu lekowego B.32 jak i włączenie do programu upadacytynibu są uzasadnione. Ich zdaniem zmiany dadzą lekarzom możliwość personalizacji leczenia i poprawę jakości życia chorych.

Problem ekonomiczny

Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy NFZ wskazują na wzrost wydatków w przypadku wprowadzenia zmian w programie lekowym B.32 (dodatkowo zwiększony w przypadku refundacji upadacytynibu). Wśród głównych ograniczeń analizy należy jednak wskazać: niepewność związaną z liczebnością populacji oraz brak uwzględnienia korzystnego wpływu zwiększenia dostępu do leczenia na efekty zdrowotne.

Główne argumenty decyzji

- 1. Zmiany są zgodne z opinią ekspertów, w zdecydowanej większości opierają się na wytycznych klinicznych i ChPL, a związane z tym koszty ekonomiczne są uzasadnione zwiększonym dostępem do leczenia oraz możliwością jego indywidualizacji.*
- 2. Rada zwraca uwagę na konieczność obniżenia ceny upadacytynibu zgodnie z opinią Rady nr 124/2023 oraz rekomendacją Prezesa nr 125/2023.*

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 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem opracowania nr: OT.422.0.1.2024 „Wprowadzenie kompleksowych zmian w dotychczasowym opisie programu lekowego B.32 »Leczenie pacjentów z chorobą Leśniowskiego – Crohna (ICD-10: K50)«”; data ukończenia: 15 lutego 2024 r.

1. Opinia przedstawiciela pacjentów przedstawiona w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości