



Opinia Rady Przejrzystości
nr 20/2024 z dnia 19 lutego 2024 roku
w sprawie zasadności wprowadzenia kompleksowej zmiany
dotychczasowej treści programu lekowego B.55 „Leczenie pacjentów
z wrzodziejącym zapaleniem jelita grubego (WZJG) (ICD-10: K51)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wprowadzenie kompleksowej zmiany dotychczasowej treści programu lekowego B.55 „Leczenie pacjentów z wrzodziejącym zapaleniem jelita grubego (WZJG) (ICD-10: K51)”.

Uzasadnienie

Zaproponowano następujące zmiany w zapisach programu lekowego B.55:

- 1. Rozszerzenie kryteriów kwalifikacji o pacjentów pediatrycznych z umiarkowanym nasileniem choroby (PUCAI $\geq 35 < 64$) oraz złagodzenie wymaganej punktacji Mayo dla pacjentów dorosłych (włączenie pacjentów z Mayo równe 6).*
- 2. Uogólnienie zapisu dotyczącego braku istotnych schorzeń współistniejących lub stanów klinicznych stanowiących przeciwwskazanie do terapii.*
- 3. Zmiana brzmienia zapisów dotyczących sposobu finansowania ewentualnego wcześniejszego leczenia.*
- 4. Dodanie do kryteriów kwalifikacji pacjentów hospitalizowanych z powodu ciężkiego rzutu choroby z niedostateczną odpowiedzią na kortykosteroidy/przeciwwskazania.*
- 5. Objęcie refundacją upadacytynibu w ramach programu lekowego B.55.*
- 6. Brak możliwości ponownej kwalifikacji do terapii daną substancją czynną w przypadku nieskutecznego leczenia.*
- 7. Dodanie do kryteriów kwalifikacji wymogu określenia adekwatnej wydolności narządowej na podstawie badań laboratoryjnych i opinii lekarza.*
- 8. Możliwość wydłużenia terapii indukcyjnej tofacytynibem w przypadku niedostatecznej odpowiedzi na leczenie.*

9. *Uogólnienie zapisu dotyczącego braku chorób lub stanów stanowiących przeciwwskazanie do terapii – do decyzji lekarza.*
10. *Zmiana zapisów dotyczących zakończenia leczenia z powodu działań niepożądanych – do decyzji lekarza zgodnie z ChPL.*
11. *Dodanie do powodów zakończenia leczenia pogorszenia jakości życia pacjenta.*
12. *Dodanie do powodów zakończenia leczenia braku współpracy lub nieprzestrzegania zaleceń lekarskich przez pacjenta lub jego opiekuna.*
13. *Zmiana dotycząca badań przy kwalifikacji ograniczająca wymóg wykonania EKG tylko do pacjentów dorosłych.*
14. *Dodanie wymogu wykonania lipidogramu i badania stężenia trójglicerydów przy kwalifikacji do leczenia filgotynibem.*
15. *Dodanie do badań przy kwalifikacji wymogu określenia początkowej wartości wskaźnika Mayo u dorosłych albo PUCAI u dzieci i młodzieży.*
16. *Wprowadzenie możliwości wydłużenia odstępu między badaniami wykonywanymi przy monitorowaniu leczenia podtrzymującego wedolizumabem.*
17. *Wprowadzenie możliwości wydłużenia odstępu między badaniami wykonywanymi przy monitorowaniu leczenia podtrzymującego ustekinumabem.*

Rozszerzenie kryteriów kwalifikacji o pacjentów pediatrycznych z umiarkowanym nasileniem choroby (PUCAI $\geq 35 < 64$) jest zgodne z wytycznymi ECCO ESPGHAN 2018. Wytyczne zarówno w przypadku umiarkowanego (PUCAI 50-60), jak i ciężkiego (PUCAI 65-85) nasilenia choroby zalecają u pacjentów pediatrycznych rozważenie infliksimabu. Jeżeli pomimo odpowiedniego leczenia tiopuryną choroba nadal ma charakter przewlekłe aktywny lub zaostrza się. Dodanie do kryteriów kwalifikacji pacjentów hospitalizowanych z powodu ciężkiego rzutu choroby z niedostateczną odpowiedzią na kortykosteroidy/przeciwwskazania jest zgodne z wytycznymi ECCO 2022 i ECCO ESPGHAN 2018. Wytyczne ECCO 2022 rekomendują stosowanie infliksymabu, adalimumabu, wedolizumabu, upadacytynibu oraz tofacytynibu u pacjentów z WZJG o nasileniu umiarkowanym do ciężkiego, u których nie wykazano skuteczności leczenia lub są przeciwwskazane kortykosteroidy i.v. Wytyczne ECCO 2020 i ESPGHAN 2018 dotyczące populacji pediatrycznej rekomendują infliksymab jako leczenie drugiego rzutu u dzieci nieleczonych wcześniej anty-TNF po nieskutecznym

leczeniu dożylnymi kortykosteroidami. Polskie wytyczne PTG-E 2023 także rekomendują stosowanie wedolizumabu, ustekinumabu, ozanimodu, upadacytynibu oraz filgotynibu w leczeniu pacjentów z WZJG w przypadku niedostatecznej odpowiedzi na kortykosteroidy lub przeciwwskazania do ich stosowania. Objęcie refundacją upadacytynibu u pacjentów dorosłych z umiarkowanym i ciężkim WZJG jest zgodne z polskimi wytycznymi PTG-E 2023, wytyczne ECCO 2022 nie uwzględniają upadacytynibu (powstały przed jego rejestracją w tym wskazaniu).

Zaproponowane zmiany w większości są zgodne z zapisami wytycznych (do części zmian nie odnaleziono odniesienia w treści wytycznych). Według ekspertów oceniających wprowadzenie nowej treści programu lekowego B.55 jest ona uzasadniona klinicznie, a zmiany są pozytywne, bardzo ważne dla polskich pacjentów, umożliwiające personalizację leczenia, poprawę jakości życia, a także obniżenie kosztów rent i zwolnień lekarskich.

Zmianami mającymi wpływ na koszty programu lekowego B.55, ponoszone przez płatnika publicznego na refundację leków są: liberalizacja kryteriów włączenia do programu, zmiana zapisów dotyczących sposobu finansowania wcześniejszego leczenia oraz ewentualne włączenie do programu lekowego upadacytynibu. Szacowany łączny wzrost populacji leczonej w ramach tego programu wyniesie od 238 do 530 pacjentów. Według ekspertów liczba leczonych, jak i koszty leczenia w ramach programu nieco wzrosną, jednak bliski koniec ochrony patentowej najdroższych obecnie substancji (ustekinumab, wedolizumab), spowoduje zmniejszenie kosztów leczenia.

Główne argumenty decyzji

- zaproponowane zmiany w większości są zgodne z zapisami wytycznych,
- według wszystkich ekspertów zmiany są uzasadnione klinicznie, umożliwiają personalizację leczenia i poprawę jakości życia,
- niewielkie konsekwencje finansowe.

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.422.0.2.2024 „Opracowanie dotyczące oceny zasadności wprowadzenia kompleksowych zmian dotychczasowej treści programu lekowego B.55 »Leczenie pacjentów z wrzodziejącym zapaleniem jelita grubego (WZJG) (ICD-10: K51)«”; data ukończenia: 15 lutego 2024 r.

1. Opinia przedstawiciela pacjentów przedstawiona w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości