



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Protokół nr 17/2015
z posiedzenia Rady Przejrzystości
w dniu 1 czerwca 2015 roku
w siedzibie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Członkowie Rady Przejrzystości (Rada) obecni na posiedzeniu:

1. Marzanna Bieńkowska
2. Anna Cieślik
3. Lucjusz Jakubowski
4. Andrzej Kokoszka
5. Michał Myśliwiec
6. Jakub Pawlikowski
7. Piotr Szymański
8. Janusz Szyndler
9. Marek Wroński

Nieobecni na posiedzeniu członkowie Rady:

1. Andrzej Śliwczyński

Porządek obrad:

1. Otwarcie posiedzenia.
2. Omówienie i zatwierdzenie porządku obrad.
3. Omówienie konfliktów interesów członków Rady.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku LEMTRADA (alemtuzumab) we wskazaniu: I-sza linia leczenia dorosłych chorych na stwardnienie rozsiane o przebiegu rzutowo-remisyjnym w ramach uzgodnionego z wnioskodawcą programu lekowego "Leczenie stwardnienia rozsianego alemtuzumabem (ICD-10 G.35)".
5. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku PLEGRIDY (peginterferon beta-1a) we wskazaniu: leczenie postaci rzutowej stwardnienia rozsianego ramach uzgodnionego z wnioskodawcą programu lekowego.
6. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku NOVOEIGHT (turoktokog alfa) we wskazaniu: pierwotna profilaktyka krwawień nowozdiagnozowanych pacjentów z ciężką postacią hemofilii A, wcześniej nie leczonych czynnikami osoczopochodnymi (ludzkimi) w



ramach programu lekowego "Zapobieganie krwawieniom u dzieci i młodzieży z hemofilią A i B (ICD-10 D 66, D 67)".

7. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku SIRTURO (bedakilina) we wskazaniu: leczenie wielolekoopornej gruźlicy płuc z zastosowaniem bedakiliny (ICD-10 A15) zgodnie z zapisami uzgodnionego programu lekowego.
8. Losowanie składów Zespołów na kolejne posiedzenia Rady.
9. Zamknięcie posiedzenia.

Ad.1. Posiedzenie o godzinie 10.30 otworzył Wiceprzewodniczący Rady Michał Myśliwiec.

Ad.2. Rada przyjęła jednogłośnie propozycję porządku obrad przedstawioną przez Michała Myśliwca.

Ad.3. Na wniosek jednego z członków Rady, z powodu konfliktu interesów, został on jednogłośnie wyłączony z prac oraz głosowania w sprawie tematu objętego pkt. 6 porządku obrad, tj. „Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku NOVOEIGHT (turoktokog alfa) we wskazaniu: pierwotna profilaktyka krwawień nowozdiagnozowanych pacjentów z ciężką postacią hemofilii A, wcześniej nie leczonych czynnikami osoczo pochodnymi (ludzkimi) w ramach programu lekowego "Zapobieganie krwawieniom u dzieci i młodzieży z hemofilią A i B (ICD-10 D 66, D 67)".

Ad.4. Pracownik Agencji przedstawił najistotniejsze informacje z Analizy weryfikacyjnej Nr: AOTMIT-OT-4351-9/2015, „Wniosek o objęcie refundacją leku Lemtrada (alemtuzumab) we wskazaniu: I-sza linia leczenia dorosłych chorych na stwardnienie rozsiane o przebiegu rzutowo-remisyjnym”.

Następnie, projekt stanowiska przedstawił członek Rady, wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie.

W wyniku przeprowadzonej dyskusji Rada, 8 głosami za projektem stanowiska Rady, przy 1 głosie przeciw projektowi, przyjęła uchwałę będącą jej stanowiskiem, która stanowi załącznik do protokołu.

Ad.5. Pracownik Agencji przedstawił najistotniejsze informacje z Analizy weryfikacyjnej Nr: AOTMIT-OT-4351-12/2015, „Wniosek o objęcie refundacją leku Plegridy (peginterferon beta-1a) w ramach programu lekowego: „Leczenie stwardnienia rozsianego peginterferonem beta-1a (ICD-10: G35)”.

Następnie projekty stanowisk przedstawił członek Rady, wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie.

W wyniku przeprowadzonej dyskusji, Rada przyjęła uchwały będące jej stanowiskami, które stanowią załączniki do protokołu:

- 1) Plegridy, peginterferonum beta-1a, roztwór do wstrzykiwań, 63 µg; 94 µg, 2 amp.-strz. a 0,5 ml, kod EAN: 0646520441970 - w wyniku głosowania, 9 głosów za projektem stanowiska Rady, 0 głosów przeciw projektowi stanowiska Rady;
- 2) Plegridy, peginterferonum beta-1a, roztwór do wstrzykiwań, 63 µg; 94 µg, 2 wstrz. a 0,5 ml, kod EAN: 0646520437201 - w wyniku głosowania, 9 głosów za projektem stanowiska Rady, 0 głosów przeciw projektowi stanowiska Rady;
- 3) Plegridy, peginterferonum beta-1a, roztwór do wstrzykiwań, 125 µg, 2 amp.-strz. a 0,5 ml, kod EAN: 0646520442274 - w wyniku głosowania, 9 głosów za projektem stanowiska Rady, 0 głosów przeciw projektowi stanowiska Rady;
- 4) Plegridy, peginterferonum beta-1a, roztwór do wstrzykiwań, 125 µg, 2 wstrz. a 0,5 ml, kod EAN: 0646520442113 - w wyniku głosowania, 9 głosów za projektem stanowiska Rady, 0 głosów przeciw projektowi stanowiska Rady.

Ad.6. Pracownik Agencji przedstawił najistotniejsze informacje z Analizy weryfikacyjnej Nr: AOTM-OT-4351-16/2015, „Wniosek o objęcie refundacją leku NovoEight (turoctocog alfa) w ramach programu lekowego »Zapobieganie krwawieniom u pacjentów z hemofilią A do ukończenia 26 roku życia«”.

Następnie, projekty stanowisk przedstawił członek Rady, wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie.

Rada jednomyślnie postanowiła przyjąć jedną uchwałą treść stanowisk dotyczących sześciu zgłoszonych kodów EAN dla leku tj.:

- 1) NovoEight, turoctocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 250 m.j., 1 fiol.+1 amp.-strz. + 1 łącznik fiol., kod EAN 5909991203375;
- 2) NovoEight, turoctocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 500 j.m., 1 fiol.+1 amp.-strz. + 1 łącznik fiol., kod EAN 5909991203382;
- 3) NovoEight, turoctocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 1000 m.j., 1 fiol.+1 amp.-strz. + 1 łącznik fiol., kod EAN 5909991203399;
- 4) NovoEight, turoctocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 1500 m.j., 1 fiol.+1 amp.-strz. + 1 łącznik fiol., kod EAN 5909991203405;
- 5) NovoEight, turoctocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 2000 m.j., 1 fiol.+1 amp.-strz. + 1 łącznik fiol., kod EAN 5909991203412;
- 6) NovoEight, turoctocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 3000 m.j., 1 fiol.+1 amp.-strz. + 1 łącznik fiol., kod EAN 5909991203429.

W wyniku przeprowadzonej dyskusji Rada, 8 głosami za projektami stanowisk Rady, przy 0 głosów przeciw projektom stanowisk Rady, uchwaliła treść stanowisk, stanowiących załączniki do protokołu.

Ad.7. Pracownik Agencji przedstawił najistotniejsze informacje z Analizy weryfikacyjnej Nr: AOTMI-OT-4351-15/2015, „Wniosek o objęcie refundacją leku Sirturo (bedakilina) w ramach programu lekowego: leczenie wielolekoopornej gruźlicy płuc z zastosowaniem bedakiliny (ICD-10: A15)”.

Następnie, projekt stanowiska przedstawił członek Rady, wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie.

W wyniku przeprowadzonej dyskusji Rada, 9 głosami za projektem stanowiska Rady, przy 0 głosów przeciw projektowi, przyjęła uchwałę będącą jej stanowiskiem, która stanowi załącznik do protokołu.

Ad.8. Przeprowadzono losowanie składu Zespołu na posiedzenie Rady w dniu 29 czerwca 2015 r.

Ad.9. Prowadzący posiedzenie Michał Myśliwiec zakończył posiedzenie Rady o godzinie 13.30.

Protokół zatwierdził prowadzący posiedzenie:


Michał Myśliwiec
Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 76/2015 z dnia 1 czerwca 2015 roku
w sprawie oceny leku Lemtrada (alemtuzumab), EAN
5909991088156, we wskazaniu: I-sza linia leczenia dorosłych chorych
na stwardnienie rozsiane o przebiegu rzutowo-remisyjnym

Rada Przejrzystości uważa za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Lemtrada (alemtuzumab), 12 mg, koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 1 fiol., kod EAN 5909991088156, we wskazaniu: I-sza linia leczenia dorosłych chorych na stwardnienie rozsiane o przebiegu rzutowo-remisyjnym, w ramach programu lekowego „Leczenie stwardnienia rozsianego alemtuzumabem (ICD-10 G.35).

Uzasadnienie

Lek jest wprowadzić bardziej skuteczny niż interferon beta-1a, ale ze względu na dużą liczbę działań niepożądanych, stosunkowo niedługie doświadczenie z ocenianym lekiem i brak badań porównawczych z innymi lekami, nie powinien być refundowany w chwili obecnej. Europejska Agencja Leków wymaga dodatkowego monitorowania bezpieczeństwa leku.

Wśród 15 dostępnych rekomendacji klinicznych tylko jedna opinia była jednoznacznie pozytywna. W innych przypadkach alemtuzumab był opisywany jako obiecująca terapia, której rekomendowanie wymaga dalszych badań. Obecnie lek nie jest refundowany w żadnym kraju Europy o PKB per capita podobnym do Polski. Na obecnym etapie, zgodnie z opinią FDA, do rozważenia pozostaje stosowanie leku u chorych, u których nie udało się uzyskać dostatecznej odpowiedzi na wcześniej stosowane leki.

.....
Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości
prof. Michał Myśliwiec

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 2015r., poz. 345), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr AOTMiT-OT-4351-9/2015, „Wniosek o objęcie refundacją leku Lemtrada (alemtuzumab) we wskazaniu: I-sza linia leczenia dorosłych chorych na stwardnienie rozsiane o przebiegu rzutowo-remisyjnym”, 21 maja 2015 r.





Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 77/2015 z dnia 1 czerwca 2015 roku

w sprawie oceny leku Plegridy (peginterferonum beta-1a),
EAN 0646520441970, w ramach programu lekowego „Leczenie
stwardnienia rozsianego peginterferonem beta-1a (ICD-10: G35)”

Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Plegridy (peginterferonum beta-1a), roztwór do wstrzykiwań, 63 µg; 94 µg, 2 amp.-strz. a 0,5 ml, kod EAN: 0646520441970, stosowanego w I-szej linii leczenia dorosłych chorych na stwardnienie rozsiane o przebiegu rzutowo-remisyjnym w ramach uzgodnionego z wnioskodawcą programu lekowego „Leczenie stwardnienia rozsianego peginterferonem beta-1a (ICD-10: G35)”, w ramach osobnej grupy limitowej i wydawanie go pacjentom bezpłatnie. Rada Przejrzystości nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego. Rada Przejrzystości odrzuca proponowany mechanizm podziału ryzyka i stwierdza, że terapia wnioskowanym lekiem nie powinna być droższa niż koszt leczenia najtańszym obecnie stosowanym preparatem interferonu w SM.

Uzasadnienie

Wnioskowana technologia jest nową, pegylovaną formą INF beta-1a stosowanego w leczeniu stwardnienia rozsianego od wielu lat. Pegylacja zmienia właściwości farmakokinetyczne i farmakodynamiczne substancji czynnej, umożliwiając rzadsze stosowanie leku i nie wpływając na bezpieczeństwo, tolerancję i immunogenność. Skuteczność leku w leczeniu rzutowo-remisyjnej postaci stwardnienia rozsianego została potwierdzona w randomizowanym badaniu klinicznym ADVANCE o dość wysokiej jakości naukowej. Nie odnaleziono badań porównujących bezpośrednio wnioskowaną technologię z innymi lekami finansowanymi w ramach obecnie obowiązującego programu lekowego „Leczenie stwardnienia rozsianego”, ale porównania pośrednie wskazują na podobną skuteczność w zakresie zmniejszania liczby rzutów choroby, zwolnienia narastania niepełnosprawności i zmniejszania liczby nowych ognisk zapalnych. Profil bezpieczeństwa leku jest zbliżony do starszych form interferonu beta 1a, aktualnie finansowanych w ramach programu lekowego. Stosowanie leku we wnioskowanych wskazaniach jest zgodne z wytycznymi klinicznymi, a eksperci kliniczni wskazują na użyteczność jego stosowania w ramach wnioskowanego programu lekowego. Podkreślić należy,



że rzadsze podawanie leku (raz na dwa tygodnie) w porównaniu do obecnie stosowanych postaci INF, wiąże się z lepszym przestrzeganiem prawidłowego schematu leczenia przez pacjentów, ponieważ minimalizuje najczęstsze objawy uboczne związane z podawaniem leku (odczyn w miejscu wstrzyknięcia i objawy grypopodobne). Analiza ekonomiczna wskazuje, że lek jest kosztowo-efektywny pod warunkiem, że koszt jego stosowania nie będzie wyższy niż najtańszy z obecnie stosowanych preparatów interferonu beta-1a. W najbardziej prawdopodobnym wariancie rozwoju wydarzeń terapia wnioskowanym lekiem powinna prowadzić do oszczędności z perspektywy płatnika publicznego.

.....

Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości
prof. Michał Myśliwiec

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 2015r., poz. 345), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr AOTMiT-OT-4351-12/2015, „Wniosek o objęcie refundacją leku Plegridy (peginterferon beta-1a) w ramach programu lekowego: „Leczenie stwardnienia rozsianego peginterferonem beta-1a (ICD-10: G35)”, 22 maja 2015 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 78/2015 z dnia 1 czerwca 2015 roku

w sprawie oceny leku Plegridy (peginterferonum beta-1a),
EAN 0646520437201, w ramach programu lekowego „Leczenie
stwardnienia rozsianego peginterferonem beta-1a (ICD-10: G35)”

Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Plegridy (peginterferonum beta-1a), roztwór do wstrzykiwań, 63 µg; 94 µg, 2 wstrz. a 0,5 ml, kod EAN: 0646520437201, stosowanego w I-szej linii leczenia dorosłych chorych na stwardnienie rozsiane o przebiegu rzutowo-remisyjnym w ramach uzgodnionego z wnioskodawcą programu lekowego „Leczenie stwardnienia rozsianego peginterferonem beta-1a (ICD-10: G35)”, w ramach osobnej grupy limitowej i wydawanie go pacjentom bezpłatnie. Rada Przejrzystości nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego. Rada Przejrzystości odrzuca proponowany mechanizm podziału ryzyka i stwierdza, że terapia wnioskowanym lekiem nie powinna być droższa niż koszt leczenia najtańszym obecnie stosowanym preparatem interferonu w SM.

Uzasadnienie

Wnioskowana technologia jest nową, pegylowaną formą INF beta-1a stosowanego w leczeniu stwardnienia rozsianego od wielu lat. Pegylacja zmienia właściwości farmakokinetyczne i farmakodynamiczne substancji czynnej, umożliwiając rzadsze stosowanie leku i nie wpływając na bezpieczeństwo, tolerancję i immunogenność. Skuteczność leku w leczeniu rzutowo-remisyjnej postaci stwardnienia rozsianego została potwierdzona w randomizowanym badaniu klinicznym ADVANCE o dość wysokiej jakości naukowej. Nie odnaleziono badań porównujących bezpośrednio wnioskowaną technologię z innymi lekami finansowanymi w ramach obecnie obowiązującego programu lekowego „Leczenie stwardnienia rozsianego”, ale porównania pośrednie wskazują na podobną skuteczność w zakresie zmniejszania liczby rzutów choroby, zwolnienia narastania niepełnosprawności i zmniejszania liczby nowych ognisk zapalnych. Profil bezpieczeństwa leku jest zbliżony do starszych form interferonu beta 1a, aktualnie finansowanych w ramach programu lekowego. Stosowanie leku we wnioskowanych wskazaniach jest zgodne z wytycznymi klinicznymi, a eksperci kliniczni wskazują na użyteczność jego stosowania w ramach wnioskowanego programu lekowego. Podkreślić należy,



że rzadsze podawanie leku (raz na dwa tygodnie) w porównaniu do obecnie stosowanych postaci INF, wiąże się z lepszym przestrzeganiem prawidłowego schematu leczenia przez pacjentów, ponieważ minimalizuje najczęstsze objawy uboczne związane z podawaniem leku (odczyn w miejscu wstrzyknięcia i objawy grypopodobne). Analiza ekonomiczna wskazuje, że lek jest kosztowo-efektywny pod warunkiem, że koszt jego stosowania nie będzie wyższy niż najtańszy z obecnie stosowanych preparatów interferonu beta-1a. W najbardziej prawdopodobnym wariancie rozwoju wydarzeń terapia wnioskowanym lekiem powinna prowadzić do oszczędności z perspektywy płatnika publicznego.

.....

Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości
prof. Michał Myśliwiec

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 2015r., poz. 345), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr AOTMiT-OT-4351-12/2015, „Wniosek o objęcie refundacją leku Plegridy (peginterferon beta-1a) w ramach programu lekowego: „Leczenie stwardnienia rozsianego peginterferonem beta-1a (ICD-10: G35)”, 22 maja 2015 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 79/2015 z dnia 1 czerwca 2015 roku

w sprawie oceny leku Plegridy (peginterferonum beta-1a),
EAN 0646520442274, w ramach programu lekowego „Leczenie
stwardnienia rozsianego peginterferonem beta-1a (ICD-10: G35)”

Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Plegridy (peginterferonum beta-1a), , roztwór do wstrzykiwań, 125 µg, 2 amp.-strz. a 0,5 ml, kod EAN: 0646520442274, stosowanego w I-szej linii leczenia dorosłych chorych na stwardnienie rozsiane o przebiegu rzutowo-remisyjnym w ramach uzgodnionego z wnioskodawcą programu lekowego „Leczenie stwardnienia rozsianego peginterferonem beta-1a (ICD-10: G35)”, w ramach osobnej grupy limitowej i wydawanie go pacjentom bezpłatnie. Rada Przejrzystości nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego. Rada Przejrzystości odrzuca proponowany mechanizm podziału ryzyka i stwierdza, że terapia wnioskowanym lekiem nie powinna być droższa niż koszt leczenia najtańszym obecnie stosowanym preparatem interferonu w SM.

Uzasadnienie

Wnioskowana technologia jest nową, pegylowaną formą INF beta-1a stosowanego w leczeniu stwardnienia rozsianego od wielu lat. Pegylacja zmienia właściwości farmakokinetyczne i farmakodynamiczne substancji czynnej, umożliwiając rzadsze stosowanie leku i nie wpływając na bezpieczeństwo, tolerancję i immunogenność. Skuteczność leku w leczeniu rzutowo-remisyjnej postaci stwardnienia rozsianego została potwierdzona w randomizowanym badaniu klinicznym ADVANCE o dość wysokiej jakości naukowej. Nie odnaleziono badań porównujących bezpośrednio wnioskowaną technologię z innymi lekami finansowanymi w ramach obecnie obowiązującego programu lekowego „Leczenie stwardnienia rozsianego”, ale porównania pośrednie wskazują na podobną skuteczność w zakresie zmniejszania liczby rzutów choroby, zwolnienia narastania niepełnosprawności i zmniejszania liczby nowych ognisk zapalnych. Profil bezpieczeństwa leku jest zbliżony do starszych form interferonu beta 1a, aktualnie finansowanych w ramach programu lekowego. Stosowanie leku we wnioskowanych wskazaniach jest zgodne z wytycznymi klinicznymi, a eksperci kliniczni wskazują na użyteczność jego stosowania w ramach wnioskowanego programu lekowego. Podkreślić należy,



że rzadsze podawanie leku (raz na dwa tygodnie) w porównaniu do obecnie stosowanych postaci INF, wiąże się z lepszym przestrzeganiem prawidłowego schematu leczenia przez pacjentów, ponieważ minimalizuje najczęstsze objawy uboczne związane z podawaniem leku (odczyn w miejscu wstrzyknięcia i objawy grypopodobne). Analiza ekonomiczna wskazuje, że lek jest kosztowo-efektywny pod warunkiem, że koszt jego stosowania nie będzie wyższy niż najtańszy z obecnie stosowanych preparatów interferonu beta-1a. W najbardziej prawdopodobnym wariancie rozwoju wydarzeń terapia wnioskowanym lekiem powinna prowadzić do oszczędności z perspektywy płatnika publicznego.

.....

Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości
prof. Michał Myśliwiec

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 2015r., poz. 345), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr AOTMiT-OT-4351-12/2015, „Wniosek o objęcie refundacją leku Plegridy (peginterferon beta-1a) w ramach programu lekowego: „Leczenie stwardnienia rozsianego peginterferonem beta-1a (ICD-10: G35)”, 22 maja 2015 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 80/2015 z dnia 1 czerwca 2015 roku

w sprawie oceny leku Plegridy (peginterferonum beta-1a),
EAN 0646520442113, w ramach programu lekowego „Leczenie
stwardnienia rozsianego peginterferonem beta-1a (ICD-10: G35)”

Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Plegridy (peginterferonum beta-1a), roztwór do wstrzykiwań, 125 µg, 2 wstrz. a 0,5 ml, kod EAN: 0646520442113, stosowanego w I-szej linii leczenia dorosłych chorych na stwardnienie rozsiane o przebiegu rzutowo-remisyjnym w ramach uzgodnionego z wnioskodawcą programu lekowego „Leczenie stwardnienia rozsianego peginterferonem beta-1a (ICD-10: G35)”, w ramach osobnej grupy limitowej i wydawanie go pacjentom bezpłatnie. Rada Przejrzystości nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego. Rada Przejrzystości odrzuca proponowany mechanizm podziału ryzyka i stwierdza, że terapia wnioskowanym lekiem nie powinna być droższa niż koszt leczenia najtańszym obecnie stosowanym preparatem interferonu w SM.

Uzasadnienie

Wnioskowana technologia jest nową, pegylowaną formą INF beta-1a stosowanego w leczeniu stwardnienia rozsianego od wielu lat. Pegylacja zmienia właściwości farmakokinetyczne i farmakodynamiczne substancji czynnej, umożliwiając rzadsze stosowanie leku i nie wpływając na bezpieczeństwo, tolerancję i immunogenność. Skuteczność leku w leczeniu rzutowo-remisyjnej postaci stwardnienia rozsianego została potwierdzona w randomizowanym badaniu klinicznym ADVANCE o dość wysokiej jakości naukowej. Nie odnaleziono badań porównujących bezpośrednio wnioskowaną technologię z innymi lekami finansowanymi w ramach obecnie obowiązującego programu lekowego „Leczenie stwardnienia rozsianego”, ale porównania pośrednie wskazują na podobną skuteczność w zakresie zmniejszania liczby rzutów choroby, zwolnienia narastania niepełnosprawności i zmniejszania liczby nowych ognisk zapalnych. Profil bezpieczeństwa leku jest zbliżony do starszych form interferonu beta 1a, aktualnie finansowanych w ramach programu lekowego. Stosowanie leku we wnioskowanych wskazaniach jest zgodne z wytycznymi klinicznymi, a eksperci kliniczni wskazują na użyteczność jego stosowania w ramach wnioskowanego programu lekowego. Podkreślić należy,



że rzadsze podawanie leku (raz na dwa tygodnie) w porównaniu do obecnie stosowanych postaci INF, wiąże się z lepszym przestrzeganiem prawidłowego schematu leczenia przez pacjentów, ponieważ minimalizuje najczęstsze objawy uboczne związane z podawaniem leku (odczyn w miejscu wstrzyknięcia i objawy grypopodobne). Analiza ekonomiczna wskazuje, że lek jest kosztowo-efektywny pod warunkiem, że koszt jego stosowania nie będzie wyższy niż najtańszy z obecnie stosowanych preparatów interferonu beta-1a. W najbardziej prawdopodobnym wariancie rozwoju wydarzeń terapia wnioskowanym lekiem powinna prowadzić do oszczędności z perspektywy płatnika publicznego.

.....

Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości
prof. Michał Myśliwiec

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 2015r., poz. 345), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr AOTMiT-OT-4351-12/2015, „Wniosek o objęcie refundacją leku Plegridy (peginterferon beta-1a) w ramach programu lekowego: „Leczenie stwardnienia rozsianego peginterferonem beta-1a (ICD-10: G35)”, 22 maja 2015 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 81/2015 z dnia 1 czerwca 2015 roku
w sprawie oceny leku NovoEight (turoctocog alfa),
EAN 5909991203375, w ramach programu lekowego
„Zapobieganie krwawieniom u pacjentów z hemofilią A
do ukończenia 26 roku życia (ICD-10 D66)”

Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego NovoEight (turoctocog alfa), proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 250 m.j., 1 fiol.+1 amp.-strz. + 1 łącznik fiol., kod EAN 5909991203375, w ramach programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u pacjentów z hemofilią A do ukończenia 26 roku życia (ICD-10 D66)”, w ramach istniejącej grupy limitowej 1090.1 (factor VIII coagulationis humanus recombinant) i wydawanie go pacjentom bezpłatnie. Rada Przejrzystości nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego. Rada nie akceptuje proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka i wnioskuje o dalsze obniżenie ceny leku w taki sposób, aby koszt leczenia ponoszony przez płatnika publicznego był niższy od komparatora.

Uzasadnienie

W profilaktyce i leczeniu krwawień w hemofilii A rekomenduje się: koncentraty cz. VIII wytwarzane z ludzkiego osocza oraz wytwarzane metodami inżynierii genetycznej. Słabej jakości dowody naukowe potwierdzają porównywalną skuteczność wnioskowanego preparatu rekombinowanego III generacji z komparatorem tej samej generacji. W dostępnych rekomendacjach klinicznych dopuszcza się stosowanie turoctocogu alfa w leczeniu hemofilii A. Leczenie turoctocogiem alfa jest refundowane w części krajów europejskich, w większości o dużo wyższym PKB per capita od Polski. W rekomendacjach refundacyjnych podkreśla się, że w porównaniu z komparatorami, stosowanie turoctocogu alfa nie przynosi pacjentom dodatkowych korzyści związanych z poprawą jakości życia, ale jednocześnie nie wpływa na ich pogorszenie. Zgodnie z wynikami analiz farmakoekonomicznych, przy zastosowaniu zaproponowanego przez wnioskodawcę instrumentu dzielenia ryzyka, terapia turoctocogiem alfa nie spowoduje spadku wydatków dla płatnika publicznego i pacjenta.



.....
Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości
prof. Michał Myśliwiec

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 2015r., poz. 345), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr AOTM-OT-4351-16/2015, „Wniosek o objęcie refundacją leku NovoEight (turoctocog alfa) w ramach programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u pacjentów z hemofilią A do ukończenia 26 roku życia””, maj 2015 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 82/2015 z dnia 1 czerwca 2015 roku
w sprawie oceny leku NovoEight (turoctocog alfa),
EAN 5909991203382, w ramach programu lekowego
„Zapobieganie krwawieniom u pacjentów z hemofilią A
do ukończenia 26 roku życia (ICD-10 D66)”

Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego NovoEight (turoctocog alfa), proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 500 j.m., 1 fiol.+1 amp.-strz. + 1 łącznik fiol., kod EAN: 5909991203382, w ramach programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u pacjentów z hemofilią A do ukończenia 26 roku życia (ICD-10 D66)”, w ramach istniejącej grupy limitowej 1090.1 (factor VIII coagulationis humanus recombinate) i wydawanie go pacjentom bezpłatnie. Rada Przejrzystości nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego. Rada nie akceptuje proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka i wnioskuje o dalsze obniżenie ceny leku w taki sposób, aby koszt leczenia ponoszony przez płatnika publicznego był niższy od komparatora.

Uzasadnienie

W profilaktyce i leczeniu krwawień w hemofilii A rekomenduje się: koncentraty cz. VIII wytwarzane z ludzkiego osocza oraz wytwarzane metodami inżynierii genetycznej. Słabej jakości dowody naukowe potwierdzają porównywalną skuteczność wnioskowanego preparatu rekombinowanego III generacji z komparatorem tej samej generacji. W dostępnych rekomendacjach klinicznych dopuszcza się stosowanie turoctocogu alfa w leczeniu hemofilii A. Leczenie turoctocogiem alfa jest refundowane w części krajów europejskich, w większości o dużo wyższym PKB per capita od Polski. W rekomendacjach refundacyjnych podkreśla się, że w porównaniu z komparatorami, stosowanie turoctocogu alfa nie przynosi pacjentom dodatkowych korzyści związanych z poprawą jakości życia, ale jednocześnie nie wpływa na ich pogorszenie. Zgodnie z wynikami analiz farmakoekonomicznych, przy zastosowaniu zaproponowanego przez wnioskodawcę instrumentu dzielenia ryzyka, terapia turoctocogiem alfa nie spowoduje spadku wydatków dla płatnika publicznego i pacjenta.



.....
Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości
prof. Michał Myśliwiec

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 2015r., poz. 345), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr AOTM-OT-4351-16/2015, „Wniosek o objęcie refundacją leku NovoEight (turoctocog alfa) w ramach programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u pacjentów z hemofilią A do ukończenia 26 roku życia””, maj 2015 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 83/2015 z dnia 1 czerwca 2015 roku
w sprawie oceny leku NovoEight (turoctocog alfa),
EAN 5909991203399, w ramach programu lekowego
„Zapobieganie krwawieniom u pacjentów z hemofilią A
do ukończenia 26 roku życia (ICD-10 D66)”

Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego NovoEight (turoctocog alfa), proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 1000 m.j., 1 fiol.+1 amp.-strz. + 1 łacznik fiol., kod EAN: 5909991203399, w ramach programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u pacjentów z hemofilią A do ukończenia 26 roku życia (ICD-10 D66)”, w ramach istniejącej grupy limitowej 1090.1 (factor VIII coagulationis humanus recombinant) i wydawanie go pacjentom bezpłatnie. Rada Przejrzystości nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego. Rada nie akceptuje proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka i wnioskuje o dalsze obniżenie ceny leku w taki sposób, aby koszt leczenia ponoszony przez płatnika publicznego był niższy od komparatora.

Uzasadnienie

W profilaktyce i leczeniu krwawień w hemofilii A rekomenduje się: koncentraty cz. VIII wytwarzane z ludzkiego osocza oraz wytwarzane metodami inżynierii genetycznej. Słabej jakości dowody naukowe potwierdzają porównywalną skuteczność wnioskowanego preparatu rekombinowanego III generacji z komparatorem tej samej generacji. W dostępnych rekomendacjach klinicznych dopuszcza się stosowanie turoctocogu alfa w leczeniu hemofilii A. Leczenie turoctocogiem alfa jest refundowane w części krajów europejskich, w większości o dużo wyższym PKB per capita od Polski. W rekomendacjach refundacyjnych podkreśla się, że w porównaniu z komparatorami, stosowanie turoctocogu alfa nie przynosi pacjentom dodatkowych korzyści związanych z poprawą jakości życia, ale jednocześnie nie wpływa na ich pogorszenie. Zgodnie z wynikami analiz farmakoekonomicznych, przy zastosowaniu zaproponowanego przez wnioskodawcę instrumentu dzielenia ryzyka, terapia turoctocogiem alfa nie spowoduje spadku wydatków dla płatnika publicznego i pacjenta.



.....
Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości
prof. Michał Myśliwiec

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 2015r., poz. 345), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr AOTM-OT-4351-16/2015, „Wniosek o objęcie refundacją leku NovoEight (turoctocog alfa) w ramach programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u pacjentów z hemofilią A do ukończenia 26 roku życia””, maj 2015 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 84/2015 z dnia 1 czerwca 2015 roku
w sprawie oceny leku NovoEight (turoctocog alfa),
EAN 5909991203405, w ramach programu lekowego
„Zapobieganie krwawieniom u pacjentów z hemofilią A
do ukończenia 26 roku życia (ICD-10 D66)”

Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego NovoEight (turoctocog alfa), proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 1500 m.j., 1 fiol.+1 amp.-strz. + 1 łacznik fiol., kod EAN: 5909991203405, w ramach programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u pacjentów z hemofilią A do ukończenia 26 roku życia (ICD-10 D66)”, w ramach istniejącej grupy limitowej 1090.1 (factor VIII coagulationis humanus recombinant) i wydawanie go pacjentom bezpłatnie. Rada Przejrzystości nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego. Rada nie akceptuje proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka i wnioskuje o dalsze obniżenie ceny leku w taki sposób, aby koszt leczenia ponoszony przez płatnika publicznego był niższy od komparatora.

Uzasadnienie

W profilaktyce i leczeniu krwawień w hemofilii A rekomenduje się: koncentraty cz. VIII wytwarzane z ludzkiego osocza oraz wytwarzane metodami inżynierii genetycznej. Słabej jakości dowody naukowe potwierdzają porównywalną skuteczność wnioskowanego preparatu rekombinowanego III generacji z komparatorem tej samej generacji. W dostępnych rekomendacjach klinicznych dopuszcza się stosowanie turoctocogu alfa w leczeniu hemofilii A. Leczenie turoctocogiem alfa jest refundowane w części krajów europejskich, w większości o dużo wyższym PKB per capita od Polski. W rekomendacjach refundacyjnych podkreśla się, że w porównaniu z komparatorami, stosowanie turoctocogu alfa nie przynosi pacjentom dodatkowych korzyści związanych z poprawą jakości życia, ale jednocześnie nie wpływa na ich pogorszenie. Zgodnie z wynikami analiz farmakoekonomicznych, przy zastosowaniu zaproponowanego przez wnioskodawcę instrumentu dzielenia ryzyka, terapia turoctocogiem alfa nie spowoduje spadku wydatków dla płatnika publicznego pacjenta.



.....
Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości
prof. Michał Myśliwiec

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 2015r., poz. 345), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr AOTM-OT-4351-16/2015, „Wniosek o objęcie refundacją leku NovoEight (turoctocog alfa) w ramach programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u pacjentów z hemofilią A do ukończenia 26 roku życia””, maj 2015 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 85/2015 z dnia 1 czerwca 2015 roku
w sprawie oceny leku NovoEight (turoctocog alfa),
EAN 5909991203412, w ramach programu lekowego
„Zapobieganie krwawieniom u pacjentów z hemofilią A
do ukończenia 26 roku życia (ICD-10 D66)”

Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego NovoEight (turoctocog alfa), proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 2000 m.j., 1 fiol.+1 amp.-strz. + 1 łącznik fiol., kod EAN 5909991203412, w ramach programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u pacjentów z hemofilią A do ukończenia 26 roku życia (ICD-10 D66)”, w ramach istniejącej grupy limitowej 1090.1 (factor VIII coagulationis humanus recombinante) i wydawanie go pacjentom bezpłatnie. Rada Przejrzystości nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego. Rada nie akceptuje proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka i wnioskuje o dalsze obniżenie ceny leku w taki sposób, aby koszt leczenia ponoszony przez płatnika publicznego był niższy od komparatora.

Uzasadnienie

W profilaktyce i leczeniu krwawień w hemofilii A rekomenduje się: koncentraty cz. VIII wytwarzane z ludzkiego osocza oraz wytwarzane metodami inżynierii genetycznej. Słabej jakości dowody naukowe potwierdzają porównywalną skuteczność wnioskowanego preparatu rekombinowanego III generacji z komparatorem tej samej generacji. W dostępnych rekomendacjach klinicznych dopuszcza się stosowanie turoctocogu alfa w leczeniu hemofilii A. Leczenie turoctocogiem alfa jest refundowane w części krajów europejskich, w większości o dużo wyższym PKB per capita od Polski. W rekomendacjach refundacyjnych podkreśla się, że w porównaniu z komparatorami, stosowanie turoctocogu alfa nie przynosi pacjentom dodatkowych korzyści związanych z poprawą jakości życia, ale jednocześnie nie wpływa na ich pogorszenie. Zgodnie z wynikami analiz farmakoekonomicznych, przy zastosowaniu zaproponowanego przez wnioskodawcę instrumentu dzielenia ryzyka, terapia turoctocogiem alfa nie spowoduje spadku wydatków dla płatnika publicznego i pacjenta.



.....
Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości
prof. Michał Myśliwiec

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 2015r., poz. 345), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr AOTM-OT-4351-16/2015, „Wniosek o objęcie refundacją leku NovoEight (turoctocog alfa) w ramach programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u pacjentów z hemofilią A do ukończenia 26 roku życia””, maj 2015 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 86/2015 z dnia 1 czerwca 2015 roku
w sprawie oceny leku NovoEight (turoctocog alfa),
EAN 5909991203429, w ramach programu lekowego
„Zapobieganie krwawieniom u pacjentów z hemofilią A
do ukończenia 26 roku życia (ICD-10 D66)”

Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego NovoEight (turoctocog alfa), proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 3000 m.j., 1 fiol.+1 amp.-strz. + 1 łacznik fiol., kod EAN: 5909991203429, w ramach programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u pacjentów z hemofilią A do ukończenia 26 roku życia (ICD-10 D66)”, w ramach istniejącej grupy limitowej 1090.1 (factor VIII coagulationis humanus recombinate) i wydawanie go pacjentom bezpłatnie. Rada Przejrzystości nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego. Rada nie akceptuje proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka i wnioskuje o dalsze obniżenie ceny leku w taki sposób, aby koszt leczenia ponoszony przez płatnika publicznego był niższy od komparatora.

Uzasadnienie

W profilaktyce i leczeniu krwawień w hemofilii A rekomenduje się: koncentraty cz. VIII wytwarzane z ludzkiego osocza oraz wytwarzane metodami inżynierii genetycznej. Słabej jakości dowody naukowe potwierdzają porównywalną skuteczność wnioskowanego preparatu rekombinowanego III generacji z komparatorem tej samej generacji. W dostępnych rekomendacjach klinicznych dopuszcza się stosowanie turoctocogu alfa w leczeniu hemofilii A. Leczenie turoctocogiem alfa jest refundowane w części krajów europejskich, w większości o dużo wyższym PKB per capita od Polski. W rekomendacjach refundacyjnych podkreśla się, że w porównaniu z komparatorami, stosowanie turoctocogu alfa nie przynosi pacjentom dodatkowych korzyści związanych z poprawą jakości życia, ale jednocześnie nie wpływa na ich pogorszenie. Zgodnie z wynikami analiz farmakoekonomicznych, przy zastosowaniu zaproponowanego przez wnioskodawcę instrumentu dzielenia ryzyka, terapia turoctocogiem alfa nie spowoduje spadku wydatków dla płatnika publicznego i pacjenta.



.....
Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości
prof. Michał Myśliwiec

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 2015r., poz. 345), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr AOTM-OT-4351-16/2015, „Wniosek o objęcie refundacją leku NovoEight (turoctocog alfa) w ramach programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u pacjentów z hemofilią A do ukończenia 26 roku życia””, maj 2015 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 87/2015 z dnia 1 czerwca 2015 roku

w sprawie oceny leku Sirturo (bedakilina), EAN 5909991140984,
w ramach programu lekowego „Leczenie wielolekoopornej
gruźlicy płuc z zastosowaniem bedakiliny (ICD-10: A15)”

Rada Przejrzystości uważa za niezasadne objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu produktu leczniczego Sirturo (bedakilina), 100 mg, 188 tabl., kod EAN: 5909991140984 we wskazaniu zgodnym z kryteriami włączenia do programu lekowego: leczenie wielolekoopornej gruźlicy płuc z zastosowaniem bedakiliny (ICD-10: A15).

Uzasadnienie

Bedakilina jest przedstawicielem nowej generacji leków, stosowanych w leczeniu gruźlicy. Jej działanie opiera się na wybiórczym hamowaniu syntetazy ATP (adenozyno 5'-trifosforanu) prątków, kluczowego enzymu biorącego udział w wytwarzaniu energii Mycobacterium tuberculosis. Skuteczność bedakiliny w leczeniu gruźlicy została oceniana jedynie w badaniach II fazy. W badaniach tych wykazano, że bedakilina, dodana do typowego schematu wielolekowego, powoduje przyspieszenie konwersji plwociny w porównaniu z placebo po 8 i 24 tygodniach leczenia (Diacon, 2009). Wpływ na konwersję nie był jednoznaczny; po 104 tygodniach obserwacji nie osiągał istotności statystycznej (bedakilina 52.4% vs. placebo 47.8%, $P = 0.76$) (Diacon, 2012). Zwracał także uwagę znaczny odsetek osób utraconych z badania. Podobnie, według danych (nieopublikowanych) analizowanych przez NIH, konwersja plwociny w trakcie pierwszych 24 tygodni leczenia była istotnie szybsza w grupie otrzymującej bedakilinę, w porównaniu z placebo (83 dni vs. 125 dni, $P < 0.0001$), ale nie różniła się po 72 tygodniach ($P = 0.069$). Należy także zauważyć, że badania dotyczące skuteczności bedakiliny nie były związane ze stosowaniem aktywnego komparatora.

Bardzo poważne zastrzeżenia budzi także profil bezpieczeństwa leku. Stosowanie bedakiliny niesie ze sobą ryzyko wystąpienia poważnych zaburzeń rytmu serca, związane z wydłużaniem odcinka QT. W związku z tym istnieje także ryzyko interakcji z lekami o podobnym potencjale, takimi jak flurochinolony czy makrolidy, a także z agonistami i inhibitorami CYP3A4. Zaobserwowano także podwyższone ryzyko uszkodzenia wątroby. W badaniu



Diacon, 2014 wyraźnie wyższa była też częstość zgonów w grupie pacjentów przyjmujących bedakilinę. Zgony te zostały zakwalifikowane jako niezwiązane z leczeniem, niemniej jednak budzi to pewien niepokój. Według zaleceń EMA problem ten powinien zostać wyjaśniony w odpowiednich badaniach III fazy.

Doświadczenia kliniczne z bedakiliną są niezbyt bogate. Lek został zarejestrowany na terenie UE w 2014 roku i w związku z niewielkim doświadczeniem klinicznym i niejasnym statusem dotyczącym skuteczności i bezpieczeństwa w leczeniu lekoopornej gruźlicy, podlega specjalnemu monitorowaniu. Według EMA istnieje potrzeba przeprowadzenia odpowiednich badań III fazy, które wskazałyby optymalny czas trwania leczenia, najskuteczniejsze kombinacje z udziałem bedakiliny oraz badania na większej liczbie pacjentów. Istotnym brakiem jest także nieprzeprowadzenie badań w populacji pacjentów zakażonych wirusem HIV, wśród których infekcje lekoopornymi prątkami stanowią istotny problem. Zaleca się także zweryfikowanie podwyższonego ryzyka zgonów po leczeniu bedakiliną.

Wytyczne kliniczne (WHO, 2013, 2014, CDC 2013) wskazują, że bedakilina, kwalifikowana do grupy 5 leków w gruźlicy (grupie leków o niepewnej skuteczności w leczeniu gruźlicy), może być użyteczna w leczeniu postaci odpornej na leczenie fluorochinolonami. Zdaniem eksperta klinicznego, lek miałby zastosowanie w lekoopornej gruźlicy.

Analiza ekonomiczna wykazała, że lek jest efektywny kosztowo, jednakże ma pewne ograniczenia, wynikające w większości przypadków ze skromności dostępnych danych klinicznych. Można do nich zaliczyć modelowania, przekraczające okresy obserwacji w badaniach źródłowych, nieuwzględnienie różnic w śmiertelności między bedakiliną a placebo, przyjęcie zerowego kosztu dla pacjentów, których utracono z obserwacji, założenie, że konwersja po bedakilinie jest trwała i nie występuje żadne ryzyko nawrotu, a także fakt, że jakość życia pacjenta wyleczonego przy pomocy bedakiliny jest taka sama jak w populacji ogólnej. Analiza wpływu na budżet wykazała wzrost kosztów dla płatnika publicznego o około 3 mln PLN w perspektywie 2 lat.

Podsumowując, w związku z faktem niewielkiego doświadczenia klinicznego, związanego ze stosowaniem bedakiliny, krótkim okresem dostępności na rynku oraz poważnymi zastrzeżeniami co do profilu bezpieczeństwa, finansowanie bedakiliny ze środków publicznych należy uznać za przedwczesne.

.....
Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości
prof. Michał Myśliwiec

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 2015r., poz. 345), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr AOTMiT-OT-4351-15/2015, „Wniosek o objęcie refundacją leku Sirturo (bedakilina) w ramach programu lekowego: leczenie wielolekoopornej gruźlicy płuc z zastosowaniem bedakiliny (ICD-10: A15)”, 22 maja 2015 r.