



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 214/2015 z dnia 12 października 2015 roku

w sprawie wydania z urzędu decyzji o objęciu refundacją leków GILENYA (fingolimodum) i TYSABRI (natalizumabum) przy danych klinicznych, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż w Charakterystyce Produktu Leczniczego

Rada Przejrzystości uważa za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego GILENYA (fingolimodum), kaps. twarde, 0,5 mg, 28 kaps., kod EAN 5909990856480, w ramach programu lekowego „Leczenie stwardnienia rozsianego po niepowodzeniu terapii lekami pierwszego rzutu lub szybko rozwijającej się ciężkiej postaci stwardnienia rozsianego (ICD 10 G 35)” z uwzględnieniem populacji pacjentów w wieku 12–18 r.ż.

Jednocześnie Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego TYSABRI (natalizumabum), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 300 mg, 1 fiol. po 15 ml, kod EAN 5909990084333, w ramach programu lekowego „Leczenie stwardnienia rozsianego po niepowodzeniu terapii lekami pierwszego rzutu lub szybko rozwijającej się ciężkiej postaci stwardnienia rozsianego (ICD 10 G 35)” z uwzględnieniem populacji pacjentów w wieku 12–18 r.ż. Rada zaleca jednocześnie ponowną ocenę zasadności refundacji leku po upływie 2 lat i rozważenie utworzenia programu lekowego dedykowanego populacji pediatrycznej lub kwalifikacji dzieci do leczenia przez zespół ekspertów. Zdaniem Rady brak jest obecnie alternatywy dla stosowania natalizumabu w przedmiotowym wskazaniu.

Uzasadnienie

Leczenie stwardnienia rozsianego w populacji pediatrycznej, pomimo znacznego postępu w zakresie dostępnych metod farmakoterapii, pozostaje dużym wyzwaniem. Przebieg stwardnienia rozsianego w populacji pediatrycznej jest bardziej agresywny, charakteryzuje się częstszymi rzutami o większym nasileniu, stąd też coraz częściej podkreśla się konieczność wczesnego stosowania leków wpływających na przebieg choroby, w celu uniknięcia szybkiego pogarszania się sprawności.



Przeważająca większość dostępnych badań klinicznych dokumentujących skuteczność i bezpieczeństwo leków modyfikujących przebieg choroby była przeprowadzona w populacji osób dorosłych. W chwili obecnej brak jest danych wysokiej jakości dokumentujących skuteczność i bezpieczeństwo zarówno fingolimodu jak i natalizumabu u osób w wieku od 12 do 18 roku życia po niepowodzeniu leczenia przy pomocy terapii I rzutu.

Dostępne dane niskiej jakości (opisy przypadków, analizy retrospektywne) wskazują na dobrą skuteczność natalizumabu w przypadku nieskuteczności leczenia pierwszego rzutu (interferonów oraz octanu glatirameru) przy zadowalającym profilu bezpieczeństwa. Znacznie mniej danych klinicznych dotyczy stosowania fingolimodu u pacjentów pediatrycznych (w toku jest badanie RCT oceniające efektywność fingolimodu w II linii leczenia po niepowodzeniu leczenia interferonem – termin zakończenia 2017). Zdaniem ekspertów klinicznych, w związku z brakiem rzeczywistych metod alternatywnych leczenia II rzutu, zastosowanie natalizumabu we wnioskowanej populacji jest uzasadnione. Ważnym problemem związanym ze stosowaniem wymienionych leków jest brak szczegółowych danych dotyczących ich profilu bezpieczeństwa w populacji pediatrycznej dlatego ich zastosowanie wymaga dokładnego monitorowania.

Podsumowując, wobec brak alternatywnych metod leczenia we wnioskowanej populacji, w kontekście dostępnych danych klinicznych zastosowanie natalizumabu jest uzasadnione. Równocześnie, praktyczny brak danych potwierdzających skuteczność i bezpieczeństwo fingolimodu we wnioskowanej populacji, nie pozwalają na pozytywną rekomendację Rady.

Przedmiot zlecenia

Zlecenie Ministra Zdrowia, zawarte w piśmie MZ-PLA-4610-190(14)/KK/14 z dnia 2 października 2015 r., dotyczyło wydania opinii Rady Przejrzystości w sprawie wydania z urzędu decyzji o objęciu refundacją leków przy danych klinicznych, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego w zakresie leków Gilenya (fingolimodum), kaps. twarde, 0,5 mg, 28 kaps., kod EAN 5909990856480, Tysabri (natalizumabum), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 300 mg, 1 fiol. po 15 ml, kod EAN 5909990084333 w programie lekowym „Leczenie stwardnienia rozsianego po niepowodzeniu terapii lekami pierwszego rzutu lub szybko rozwijającej się ciężkiej postaci stwardnienia rozsianego (ICD-10 G 35)” z uwzględnieniem populacji pacjentów w wieku 12-18 r.ż.

.....
Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości
prof. Rafał Suwiński

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2015 r., poz. 581).

Wykorzystane źródła danych:

1. Opracowanie na potrzeby Rady Przejrzystości w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych leków we wskazaniach innych niż ujęte w charakterystyce produktu leczniczego, Raport nr: AOTMiT-BOR-434-12/2015, „Gilenya (fingolimod), Tysabri (natalizumab) w wybranych wskazaniach pozarejestacyjnych.”, Warszawa, październik 2015 r.