



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 44/2016 z dnia 16 maja 2016 roku

w sprawie oceny leku Esbriet (pirfenidon) kod EAN: 5902768001112,  
we wskazaniu: leczenie idiopatycznego włóknienia płuc

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Esbriet (pirfenidon), kaps. twarda, 267 mg, 63 szt., kod EAN 5902768001112, we wskazaniu: leczenie idiopatycznego włóknienia płuc, w ramach programu lekowego „Leczenie idiopatycznego włóknienia płuc (ICD-10 J84.1)”, w ramach nowej grupy limitowej, jako leku dostępnego bezpłatnie, pod warunkiem skorygowania zaproponowanego instrumentu dzielenie ryzyka i uwzględnienia w nim dawki dziennej leku, gdyż wyższa dawka leku znacznie zmniejsza efektywność kosztową.*

*Rada nie zgłasza uwag do zapisów projektu programu lekowego.*

#### Uzasadnienie

*Idiopatyczne (czyli samoistne - o nieznannej etiologii) włóknienie płuc (Idiopathic Pulmonary Fibrosis – IPF) jest specyficzną postacią śródmiąższowego zapalenia płuc, które przebiega z pojawieniem się (najczęściej po 60 roku życia) twardych zmian zapalno-włóknistych w obrębie najbardziej obwodowych struktur płuc. Upośledzają one wymianę gazów. Występujące zmiany patologiczne nie mają związku z innymi chorobami i ograniczone są jedynie do płuc. Postępująca duszność, częste zapalenia płuc i suchy kaszel (z towarzyszącą często niewydolnością serca) mają charakter przewlekły, a średnie przeżycie od chwili diagnozy wynosi ok. 3,5 roku, przy czym od pierwszych objawów do prawidłowego rozpoznania mija 3-4 lata. Choroba ma różny przebieg, zaś obecnie stosowane leczenie jest objawowe i mało skuteczne. Tylko 10-12% chorych przeżywa 10 lat.*

*Esbriet (pirfenidon) jest syntetycznym doustnym lekiem sierocym, który hamuje aktywność transformującego czynnika wzrostu TGF-beta oraz czynnika martwicy nowotworu TNF-alfa. Hamuje też proliferację fibroblastów i produkcję kolagenu.*

*Lek jest oceniany w intensywnych badaniach wielośrodkowych od niedługiego czasu, stąd dzisiaj dostępne dane są z okresu obserwacji trwającego*



niż podają dane retrospektywne.

Dość mocne dowody naukowe potwierdzają, że pirfenidon po rocznej kuracji również znacząco spowolniał spadek FVC oraz poprawiał wydolność fizyczną, co przekładało się na zwiększenie średnio o 25 metrów długości marszu chorego. Lek jest drogi i ma liczne, niekiedy poważne objawy niepożądane (nudności, kaszel, zaburzenia żołądkowo-jelitowe, wysypki itp.), które czasami zmuszają nawet do przerwania terapii. Jego kilkuletnie stosowanie nie prowadzi do wyleczenia, tylko do zmniejszenia niektórych objawów i opóźnienia z reguły śmiertelnej choroby.

Przez amerykańską FDA lek został uznany jako „obiecujący” i dopuszczony do stosowania u chorych, ale wymagający dalszych i dłuższych badań klinicznych – w szczególności na pacjentach rasy białej, u których dawkowanie pirfenidonu wymaga większych dawek. Eksperti kliniczni oraz europejskie towarzystwa lekarskie zalecają stosować lek wstępnie i warunkowo jedynie w łagodnej i umiarkowanej postaci IPF, gdyż chorzy nie mają innej, skutecznej alternatywy leczniczej. Z tego powodu mimo wysokiej ceny, Esbriet jest refundowany w wielu krajach europejskich, w tym kilku o podobnym do Polski PKB per capita. W Polsce szacuje się, że lek może zacząć stosować kilkuset chorych rocznie, co wzrostowo w ciągu 4 lat spowoduje wzrost wydatków NFZ z [redacted] milionów do dwudziestu kilku milionów złotych.

Brak finansowania tego leku sierociego generuje duże nieuwzględnione koszty dla systemu (zasiłki, renty, hospitalizacje).

Z powyższych powodów Rada przyjęła stanowisko jak wyżej.

.....  
Przewodniczący Rady Przejrzystości  
prof. Tomasz Pasierski

**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 2015 r., poz. 345 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr AOTMiT-OT-OT.4351.9.2016 „Wniosek o objęcie refundacją leku Esbriet (pirfenidon) we wskazaniu: Leczenie idiopatycznego włóknienia płuc (ICD-10 J84.1)”. Data ukończenia: 6 maja 2016 r.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Roche Polska Sp. z o.o.).

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem Roche Polska Sp. z o.o. o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

**Podstawa prawna wyłączenia jawności:** art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2014, poz. 782 z późn. zm.) w zw. z art. 11 ust. 4 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2003 r., Nr 153, poz. 1503 z późn. zm.).

**Organ dokonujący wyłączenia jawności:** Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji.

**Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności:** Roche Polska Sp. z o.o.