



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 162/2016 z dnia 30 maja 2016 roku

w sprawie dostępnych dowodów naukowych w zakresie skuteczności klinicznej i praktycznej w zakresie dawkowania, bezpieczeństwa stosowania i efektywności kosztowej czynników krzepnięcia stosowanych w ramach programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie zapisy programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”. Są one identyczne z treścią programu lekowego B.15 o tej samej nazwie, realizowanego na podstawie kolejnych Obwieszczeń Ministra Zdrowia w sprawie leków refundowanych. Rada stwierdza na podstawie dostępnych dowodów naukowych, że zaproponowane w programie schematy dawkowania czynników krzepnięcia spełniają kryteria efektywności klinicznej i kosztowej, z uwzględnieniem jednocześnie niezbędnej indywidualizacji procesu zapobiegania i leczenia krwawień w przebiegu hemofilii A i B u dzieci.

Uzasadnienie

Wniosek dotyczy stosowania w ramach programu lekowego czynników krzepnięcia u dzieci z hemofiliami A i B, celem zapobiegania i leczenia u nich krwawień występujących w przebiegu tych chorób. Program lekowy o tej samej nazwie – „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B (ICD-10 D66 oraz D67)” – realizowany jest już pod symbolem B.15 na podstawie kolejnych Obwieszczeń Ministra Zdrowia, dotyczących leków refundowanych.

Problem zdrowotny jest znany i dobrze zdefiniowany. Populacja chorych i liczba wykonywanych u nich świadczeń w ramach wspomnianego programu lekowego jest dokładnie określona na podstawie danych sprawozdawczych posiadanych przez płatnika publicznego oraz dzięki rejestrowi Instytutu Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie. Program lekowy wpisuje się w założenia „Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne” w Polsce. W dostępnych doniesieniach naukowych oraz w opiniach ekspertów dominuje pogląd o koniecznym zindywidualizowaniu dawkowania czynników krzepnięcia zależnie od wieku, masy ciała, indywidualnej farmakokinetyki działania podanych czynników, cech charakterologicznych



dziecka i związanego z tym trybem życia. Pacjenci wymagają stałej obserwacji i indywidualnego dostosowywania dawek zależnie od potrzeb. Wiadomo, że wielokrotnie tańsze jest stosowanie czynników osoczo pochodnych w porównaniu z czynnikami rekombinowanymi, które powinny być do tego stosowane w wyższych dawkach. Koszty leczenia dzieci w przeliczeniu na jednego pacjenta mogą się zatem różnić nawet kilkunastokrotnie. Istnieją dowody naukowe, że stosowanie wyższych dawek czynników krzepnięcia w istotny sposób zmniejsza ryzyko krwawień dostawowych, a tym samym mniejsze jest ryzyko uszkodzeń stawów wpływających na jakość życia.

Przedmiot zlecenia

Zlecenie Ministra Zdrowia, zawarte w piśmie IK 536293 z dnia 6 kwietnia 2016r., dotyczyło wydania opinii Rady Przejrzystości w sprawie dostępnych dowodów naukowych w zakresie skuteczności klinicznej i praktycznej w zakresie dawkowania, bezpieczeństwa stosowania i efektywności kosztowej czynników krzepnięcia stosowanych w ramach programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”.

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

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt. 4 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2015 r. poz. 581 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr OT.434.18.2016, „Profilaktyka krwawień u dzieci z hemofilią A i B”, Warszawa, 25.05.2016 r.