

Rekomendacja nr 56/2016

z dnia 6 września 2016 r.

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację leku Calcort (deflazacort) we wskazaniach: sarkoidoza, zespół Ormonda, choroba śródmiąższowa płuc

Prezes Agencji nie rekomenduje wydawania zgód na refundację leku Calcort (deflazacort) we wskazaniach: sarkoidoza, zespół Ormonda, choroba śródmiąższowa płuc.

Uzasadnienie rekomendacji

Prezes Agencji, biorąc pod uwagę stanowisko Rady Przejrzystości uważa, że dostępne dowody nie uzasadniają wydawania zgód na refundację leku Calcort (deflazacort) we wskazaniach: sarkoidoza, zespół Ormonda, choroba śródmiąższowa płuc.

W obrębie wnioskowanych wskazań odnaleziono jedynie jedno randomizowane badanie (Rizzoti 1997). Dotyczyło ono zastosowania deflazakortu w sarkoidozie. Podstawowymi ograniczeniami badania było: niska wiarygodność metodologiczna (otrzymało 2 na 5 punktów w skali Jadad), zostało przeprowadzone na niewielkiej grupie pacjentów (72 osoby), nie przeprowadzono statystycznego zestawienia wyników porównującego deflazakort z prednizonem. Zgodnie z autorami publikacji wnioskowana substancja charakteryzuje się podobną skutecznością do prednizonu. Profil bezpieczeństwa również uznano za podobny, jednakże w obrębie funkcjonowania układu pokarmowego oraz metabolizmu osoby stosujące deflazakort rzadziej zgłaszały działania niepożądane.

W odniesieniu do zastosowania deflazakortu w zespole Ormonda odnaleziono jedynie jeden opis przypadku, lecz na podstawie wyników zawartych w publikacji nie jest możliwe dokonanie rzetelnej oceny efektywności klinicznej leku w tym wskazaniu. Ten rodzaj dowodu, zgodnie z wytycznymi oceny technologii medycznych, znajduje się prawie na samym końcu klasyfikacji doniesień naukowych.

Dla wskazania odnoszącego się do leczenia chorób śródmiąższowych płuc nie odnaleziono żadnej publikacji, co uniemożliwiło ocenę skuteczności i bezpieczeństwa ocenianego leku w tym wskazaniu

Odnaleziono 5 rekomendacji klinicznych dotyczących wnioskowanych wskazań, zalecają one zazwyczaj stosowanie steroidów systemowych – głównie wymieniany jest prednizon. Jedynie w jednej (American Thoracic Society 1999) wymieniono deflazakort jako opcję terapeutyczną.

Nie odnaleziono żadnej rekomendacji refundacyjnej dotyczącej deflazakortu we wnioskowanych wskazaniach.

Przedmiot wniosku

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy zasadności wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Calcort (deflazacort, DFZ), tabletki 6 mg i 30 mg we wskazaniach: sarkoidoza, zespół Ormonda, choroba śródmiąższowa płuc, na podstawie art. 31 e ust. 1 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz.U.2015 r. poz. 581 z późn. zm.) i w zw. z art. 39 ust. 3 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. z 2015 r. poz. 345, z późn. zm.).

Problem zdrowotny

Sarkoidoza

Sarkoidoza (choroba Besniera-Boeckea-Schaumanna) to choroba autoimmunologiczna charakteryzująca się powstawaniem ziarniników, które nie podlegają martwicy. Etiologia sarkoidozy nie jest znana. Przypuszcza się, że przyczyną powstania choroby jest reakcja układu odpornościowego na niezidentyfikowany antygen u osób z predyspozycją genetyczną. Cechą charakterystyczną choroby jest gromadzenie się w miejscach aktywnego procesu chorobowego (głównie w węzłach chłonnych i tkankach o bogatym utkaniu limfatycznym) limfocytów Th1 i makrofagów, przekształcających się w komórki nabłonkowe i tworzących nieserowaciejące ziarniki.

W Polsce rocznie rejestruje się ok. 10/100 000 zachorowań na sarkoidozę. Choroba dotyczy głównie młodych dorosłych w wieku 20-40 lat, ale coraz częściej spotyka się ją także u osób po 60 r.ż.

Zespół Ormonda

Chorobą Ormonda nazywamy zwłóknienie zaotrzewnowe. Jest to rzadkie schorzenie, którego istotą jest odkładanie się patologicznej tkanki włóknisto zapalnej w przestrzeni zaotrzewnowej, najczęściej wokół aorty brzusznej. Proces włóknienia obejmuje tkankę tłuszczową oraz tkankę łączną zaotrzewnową. Może również otaczać każdy narząd leżący w okolicy: żyłę główną dolną, moczowody, naczynia chłonne, nerwy, inne naczynia krwionośne, przewód żółciowy wspólny, dwunastnicę, jelito grube, trzustkę. Patologiczna tkanka naciekając powyższe narządy powoduje ich ucisk, a w konsekwencji zaburzenie funkcjonowania.

Częstość występowania choroby Ormonda na świecie szacuje się na ok. 1/200 000-500 000 osób. Brak jest danych na temat występowania tego schorzenia w Polsce.

Choroba śródmiąższowa płuc

Choroby śródmiąższowe płuc stanowią heterogenną grupę nieinfekcyjnych i nienowotworowych chorób. Charakteryzują się występowaniem zmian rozsianych w obrazie radiologicznym klatki piersiowej, zaburzeniami wentylacji typu restrykcyjnego ze zmniejszeniem zdolności dyfuzyjnej płuc i upośledzeniem wymiany gazowej. Spośród samoistnych śródmiąższowych zapaleń płuc, samoistne zwłóknienie płuc (IPF) jest jednostką występującą najczęściej (40 – 70%). W ok. 3% przypadków choroba występuje rodzinnie i prawdopodobnie dziedziczona jest jako cecha autosomalna dominująca ze zmienną penetracją. Częstość występowania IPF w Polsce nie jest znana.

Pomimo prób leczenia, średni czas przeżycia pacjenta z IPF wynosi 2,5 – 3,5 roku od momentu rozpoznania. Mniej niż 15% chorych przeżywa 10 lat. Do najczęstszych przyczyn śmierci należy: niewydolność oddechowa (40%), niewydolność serca, choroba niedokrwienna serca, zakażenia i zatorowość płucna oraz rak płuca (4 – 15%). Naturalny przebieg choroby może wiązać się z występowaniem gwałtownych zaostrzeń choroby, które skutkują bardzo złym rokowaniem i blisko 80 – 90% śmiertelnością.

Alternatywna technologia medyczna

Zgodnie ze zleceniem Calcort miałby być finansowany w ramach importu docelowego, dlatego też produkt leczniczy Calcort miałby być finansowany jedynie przy założeniu, że wykorzystano u pacjenta dostępne alternatywne metody leczenia lub istnieją przeciwwskazania do prowadzenia terapii z użyciem takich metod.

Zgodnie z informacjami przedstawionymi przez ekspertów klinicznych, a także zawartych w literaturze oraz wytycznych klinicznych w sarkoidozie, zespole Ormonda oraz chorobie śródmiąższowej płuc zastosowanie mają przede wszystkim glikokortykosteroidy (GKS). Wskazywany jest prednizon bądź prednizolon oraz metyloprednizolon, a także w przypadkach nieskuteczności bądź niepowodzenia terapii GKS metotreksat. Leki te znajdują się w obwieszczeniu Ministra Zdrowia z dnia 19 sierpnia 2016 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na dzień 1 września 2016 r.

Główne przeciwwskazania do stosowania ww. preparatów poza nadwrażliwością na substancję czynną (lub na substancje pomocnicze) to występowanie układowych zakażeń grzybiczych i wirusowych.

Opis wnioskowanego świadczenia

Deflazakort (DFZ), substancja czynna leku Calcort, wykazuje działanie przeciwzapalne i immunosupresyjne, jest pochodną prednizolonu.

Zgodnie z odnalezioną brytyjską charakterystyką produktu Calcort jego wskazania zarejestrowane to:

- anafilaksja, astma, ciężkie reakcje nadwrażliwości;
- reumatoidalne zapalenie stawów, młodzieńcze przewlekłe zapalenie stawów, zespół bólu wielomięśniowego;
- liszaj rumieniowaty układowy, zapalenie skórno-mięśniowe, mieszane choroby tkanki łącznej (inne niż twardzina układowa), guzkowe zapalenie tętnic, sarkoidoza;
- pęcherzyca, pemfigoid pęcherzowy, zgorzelinowa zapalenie skóry;
- zespół nerczycowy na podłożu zmian minimalnych, ostre śródmiąższowe zapalenie nerek;
- reumatoidalne zapalenia mięśnia sercowego;
- wrzodziejące zapalenie okrężnicy, choroba Crohna;
- zapalenie błony naczyniowej oka, zapalenie nerwu wzrokowego;
- autoimmunologiczna niedokrwistość hemolityczna, samoistna plamica małopłytkowa;
- ostra i limfatyczna białaczka, chłoniak złośliwy, szpiczak mnogi;
- immunosupresja po przeszczepie.

W ramach omawianych wskazań jedynie sarkoidoza stanowi wskazanie rejestracyjne. Natomiast pozostałe (zespół Ormonda, choroba śródmiąższowa płuc) należy je traktować jako pozarejestracyjne.

Ocena skuteczności (klinicznej oraz praktycznej) i bezpieczeństwa

Ocena ta polega na zebraniu danych o konsekwencjach zdrowotnych (skuteczność i bezpieczeństwo) wynikających z zastosowania nowej terapii w danym problemie zdrowotnym oraz innych terapii, które w danym momencie są finansowane ze środków publicznych i stanowią alternatywne leczenie dostępne w danym problemie zdrowotnym. Następnie ocena ta wymaga określenia wiarygodności zebranych danych oraz porównania wyników dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa nowej terapii względem terapii już dostępnych w leczeniu danego problemu zdrowotnego.

Na podstawie powyższego ocena skuteczności i bezpieczeństwa pozwala na uzyskanie odpowiedzi na pytanie o wielkość efektu zdrowotnego (zarówno w zakresie skuteczności, jak i bezpieczeństwa), którego należy oczekiwać względem nowej terapii w porównaniu do innych rozważanych opcji terapeutycznych.

W ramach analizy klinicznej odnaleziono:

- dwa badania prospektywne dotyczące skuteczności i bezpieczeństwa stosowania deflazakortu w przewlekłej sarkoidozie:
 - Rizzato 1997 – prospektywne, randomizowane badanie, porównujące deflazakort (DFZ) z prednizonem (PDN). Jego wiarygodność metodologiczną oceniono na 2 z 5 punktów w skali Jadad (utrata punktów, związana była z brakiem zaślepienia oraz brakiem opisu randomizacji). Okres obserwacji wynosił w zależności od grupy: DFZ: 42 ± 18 miesięcy, PDN: 32 ± 18 miesięcy. Do badania włączono 72 pacjentów;
 - Rizzato 1991 – jednoramienne badanie prospektywne, średni czas obserwacji wynosił 958 ± 515 dni. Do badania włączono 40 pacjentów;
- jedną publikację (Lee 2008) zawierającą opis leczenia pacjenta z chorobą Ormonda i chorobą Hashimoto leczony deflazakortem w dawce (początkowo 72 mg/d, ostatecznie zmniejszona do 6 mg/d).

Nie odnaleziono badań odnoszących się do chorób śródmiąższowych płuc.

Skuteczność

Rizzato 1997

W publikacji nie przedstawiono obliczeń porównujących bezpośrednio DFZ z PDN. Wyniki miały na celu wskazanie skuteczności poszczególnych leków tj. przed i po leczeniu.

Prześwietlenie klatki piersiowej wykazało uzyskanie: całkowitej poprawy u 26 pacjentów (po 13 z każdej grupy) oraz dobrej poprawy u 30 pacjentów (po 15 z każdej grupy). Końcowy wynik pozostał niezmienny u 8 pacjentów (5 z grupy DFZ oraz 3 z grupy PDN). Pogorszenie natomiast wystąpiło u dwóch pacjentów (po jednym z każdej grupy).

Wynik scyntygrafii (^{67}Ga Gallium scan) spadł istotnie w czwartym roku leczenia w obu grupach: DFZ - spadek poziomu z $1,75 \pm 0,15$ do $1,1 \pm 0,23$ natomiast PDZ - spadek poziomu z $1,39 \pm 0,15$ do $0,53 \pm 0,32$.

Oznaczenie enzymu konwertującego angiotensynę (ACE – ang. *Angiotensin-Converting Enzyme*), wykazało istotną poprawę w obu grupach, nie odnotowano jednak istotnej statystycznie różnicy pomiędzy nimi.

Badanie spirometryczne wykazało istotną statystycznie poprawę w zakresie parametru FVC (ang. *Forced Vital Capacity* – natężona pojemność życiowa) w obu grupach. Z kolei parametr FEV1 – natężona objętość wydechu pierwszosekundowa osiągnęła $87,8\% \pm 2,4\%$ w grupie DFZ oraz $84,4\% \pm 2,7\%$ w grupie PDZ. Wynik ten jednak nie był istotny statystycznie.

Ponadto stan hiperkalciurii u pacjentów uległ poprawie i wyniki po 4 latach terapii w grupie PDZ spadły do $186,6 \pm 47,1$ mg dl⁻¹ (wynik istotny statystycznie) natomiast w grupie DFZ spadły do $207,4 \pm 39,9$ mg dl⁻¹ (wynik nieistotny statystycznie).

Rizzato 1991

W grupie PT (pacjenci leczeni wcześniej innymi kortykosteroidami) poziom ACE spadł znacząco z $114,6 \pm 39,7$ nM/ml/min do $91,5 \pm 37,9$ ($p < 0,05$). Większy spadek odnotowano w grupie UT (stosujący wyłącznie deflazakort): z poziomu $131,8 \pm 46,3$ do $83,7 \pm 25,0$ nM/ml/min ($p < 0,01$).

Badania radiologiczne płuc wykazały poprawę u 16 pacjentów z 29 w grupie PT, wynik scyntygrafii wykazał natomiast poprawę u 13 pacjentów. Pogorszenie odnotowano u dwóch pacjentów.

W zakresie oceny funkcji płuc istotnie statystycznie wyniki uzyskano w grupie UT (jednocześnie nie uzyskano istotności statystycznej w grupie PT). Parametr FVC (natężona pojemność życiowa) wzrósł z poziomu $76,7\% \pm 13,6\%$ do $89,9\% \pm 19,5\%$ ($p < 0,01$).

W żadnej z grup nie odnotowano istotnej statystycznie poprawy w zakresie ocenianego poziomu wapnia w surowicy krwi i w moczu.

Lee 2008

W publikacji opisano przypadek pacjenta (67-letni mężczyzna) z chorobą Ormonda oraz jednocześnie występującą chorobą Hashimoto. Leczenie rozpoczęto od dawki deflazakortu: 72 mg/doba. Po 13 dniach hospitalizacji pacjent został wypisany i kontynuował terapię steroidową, którą sukcesywnie zmniejszano do dawki 6 mg/dobę.

Tomografia komputerowa, wykonana 9 miesięcy po leczeniu, wykazała zmniejszenie zwłóknienia w przestrzeni pozaotrzewnowej oraz ustąpienie wodonercza po prawej stronie.

Bezpieczeństwo

W zakresie ciężkich działań niepożądanych związanych z leczeniem deflazakortem w badaniu Rizzato 1997 zaraportowano dwa ciężkie epizody zapalenia płuc. U jednego z pacjentów wystąpiły nietraumatyczne złamania kości związane ze spadkiem gęstości mineralnej kości. Masa ciała u pacjentów w grupie DFZ w ciągu 4 lat terapii wahała się nieznacznie ($70,1 \pm 0,4$ na początku leczenia, $72,1 \pm 0,5$ w pierwszym roku, $71,8 \pm 0,4$ w drugim, $69,9 \pm 0,6$ w trzecim oraz $70,0 \pm 0,6$ w czwartym roku).

W przedstawionym badaniu deflazakort w porównaniu z prednizonem powodował mniej działań niepożądanych ogółem. Najczęściej obserwowane działania niepożądane dotyczyły zaburzeń metabolizmu i odżywiania, przy czym częstość ich występowania była niższa niż w grupie prednizonu (15 vs 25 przypadków). W zakresie innych obserwowanych działań niepożądanych rzadziej występowały również zaburzenia przewodzenia pokarmowego oraz bóle kości.

Zgodnie z wynikami badania Rizzato 1991 wśród leczonych deflazakortem najczęściej dochodziło do przyrostu masy ciała (17,5%). Z powodu skutków ubocznych leczenie przerwało dwóch pacjentów. natomiast.

Natomiast zgodnie z publikacją Lee 2008 u pacjenta nie wystąpiły działania niepożądane w trakcie leczenia deflazakortem.

Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka

Nie dotyczy.

Ocena ekonomiczna, w tym szacunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

Ocena ekonomiczna polega na oszacowaniu i zestawieniu kosztów i efektów zdrowotnych, jakie mogą wiązać się z zastosowaniem u pojedynczego pacjenta nowej terapii zamiast terapii już refundowanych.

Koszty terapii szacowane są w walucie naszego kraju, a efekty zdrowotne wyrażone są najczęściej w zyskanych latach życia (LYG, life years gained) lub w latach życia przeżytych w pełnym zdrowiu (QALY, quality adjusted life years) wskutek zastosowania terapii.

Zestawienie wartości dotyczących kosztów i efektów związanych z zastosowaniem nowej terapii i porównanie ich do kosztów i efektów terapii już refundowanych pozwala na uzyskanie odpowiedzi na pytanie, czy efekt zdrowotny uzyskany u pojedynczego pacjenta dzięki nowej terapii wiąże się z wyższym kosztem w porównaniu do terapii już refundowanych.

Uzyskane wyniki wskaźnika kosztów-efektów zdrowotnych porównuje się z tzw. progiem opłacalności, czyli wynikiem, który sygnalizuje, że przy zasobności naszego kraju (wrażonej w PKB) maksymalny

koszt nowej terapii, która ma wiązać się z uzyskaniem jednostkowego efektu zdrowotnego (1 LYG lub 1 QALY) w porównaniu do terapii już dostępnych, nie powinien przekraczać trzykrotności PKB per capita.

Aktualnie próg opłacalności wynosi 125 955 PLN (3 x 41 985 PLN).

Wskaźnik kosztów-efektów zdrowotnych nie szacuje i nie wyznacza wartości życia, pozwala jedynie ocenić i m. in. na tej podstawie dokonać wyboru terapii związanej z potencjalnie najlepszym wykorzystaniem aktualnie dostępnych zasobów.

Nie odnaleziono danych, które pozwoliłyby w sposób wiarygodny przeprowadzić analizę ekonomiczną, która byłaby zgodna ze zleceniem Ministra Zdrowia.

Wskazanie czy zachodzą okoliczności, o których mowa w art. 13 ust. 3 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. 2015 poz. 345);

Jeżeli analiza kliniczna wnioskodawcy nie zawiera randomizowanych badań klinicznych dowodzących wyższości leku nad technologiami medycznymi dotychczas refundowanymi w danym wskazaniu, to urzędowa cena zbytu leku musi być skalkulowana w taki sposób, aby koszt stosowania leku wnioskowanego do objęcia refundacją nie był wyższy niż koszt technologii medycznej o najkorzystniejszym współczynniku uzyskiwanych efektów zdrowotnych do kosztów ich uzyskania.

Nie dotyczy.

Ocena wpływu na system ochrony zdrowia, w tym wpływu na budżet płatnika publicznego

Ocena wpływu na system ochrony zdrowia składa się z dwóch istotnych części.

Po pierwsze, w analizie wpływu na budżet płatnika, pozwala na oszacowanie potencjalnych wydatków związanych z finansowaniem nowej terapii ze środków publicznych.

Szacunki dotyczące wydatków związanych z nową terapią (scenariusz „jutro”) są porównywane z tym ile aktualnie wydajemy na leczenie danego problemu zdrowotnego (scenariusz „dziś”). Na tej podstawie możliwa jest ocena, czy nowa terapia będzie wiązać się z koniecznością przeznaczenia wyższych środków na leczenie danego problemu zdrowotnego, czy też wiąże się z uzyskaniem oszczędności w budżecie płatnika.

Ocena wpływu na budżet pozwala na stwierdzenie, czy płatnik posiada odpowiednie zasoby na finansowanie danej technologii.

Ocena wpływu na system ochrony zdrowia w drugiej części odpowiada na pytanie jak decyzja o finansowaniu nowej terapii może wpłynąć na organizację udzielania świadczeń (szczególnie w kontekście dostosowania do wymogów realizacji nowej terapii) oraz na dostępność innych świadczeń opieki zdrowotnej.

Na podstawie aktualnego w obwieszczenia Ministra Zdrowia w sprawie wykazu refundowanych leków, dla preparatów stanowiących podstawę limitu finansowania, zawierających substancje czynne: prednizon, prednizolon oraz metyloprednizolon i metotreksat, obliczono, ceny za dzienną dawkę leku (DDD – ang. *defined daily dose*). Z perspektywy płatnika publicznego zawierają się one w przedziale: od 0,12 PLN do 1,06 PLN.

Natomiast cena netto za DDD (15 mg) deflazakortu, zgodnie z danymi przesłanymi przez hurtownie farmaceutyczne wynoszą od ok. 0,30 PLN do ok. 5,30 PLN.

Zgodnie z danymi przekazanymi przez Ministerstwo Zdrowia, wydatki związane z finansowaniem produktu leczniczego Calcort w latach 2012-2016 (do VI 2016) wynosiły odpowiednio: 890 PLN, 918 PLN, 1038 PLN, 3880 PLN oraz 1970 PLN netto. Wydaje się mało prawdopodobnym, aby w wyniku utrzymania finansowania nastąpiły zmiany w zapotrzebowaniu na leczenie tym produktem.

Uwagi do proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka

Nie dotyczy.

Uwagi do zapisów programu lekowego

Nie dotyczy.

Omówienie rozwiązań proponowanych w analizie racjonalizacyjnej

Przedmiotem analizy racjonalizacyjnej jest identyfikacja mechanizmu, którego wprowadzenie spowoduje uwolnienie środków publicznych w wysokości odpowiadającej co najmniej wzrostowi kosztów wynikającemu z podjęcia pozytywnej decyzji o refundacji wnioskowanej technologii medycznej.

Analiza racjonalizacyjna jest przedkładana jeżeli analiza wpływu na budżet podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych wykazuje wzrost kosztów refundacji.

Nie dotyczy.

Omówienie rekomendacji wydawanych w innych krajach w odniesieniu do ocenianej technologii

Odnaleziono następujące rekomendacje kliniczne odnoszące się do omawianych wskazań:

- sarkoidoza: Postępy Nauk Medycznych 2011, British Thoracic Society (BTS) 2009, American Thoracic Society (ATS) 1999;
- zespół Ormonda: Medscape 2016; National Institutes of Health 2015;
- choroba śródmiąższowa płuc: BTS 2009.

Zgodnie z przedstawionymi rekomendacjami w leczeniu sarkoidozy (I linia) zaleca się stosowanie steroidów systemowych (GKS) – głównie wymieniany jest prednizon, podczas gdy deflazakort znalazł się w jednej odnalezionej rekomendacji amerykańskiej ATS z 1999 r. Najczęściej stosowanym lekiem II rzutu w sarkoidozie jest metotreksat (Mtx).

W zaleceniach dot. leczenia zespołu Ormonda również na pierwszym miejscu wymienia się kortykosteroidy oraz dodatkowo tamoksifen, azatioprynę lub leczenie eksperymentalne (m.in. cyklofosfamid, mykofenolan mofetylu, cyklosporyna).

W leczeniu choroby śródmiąższowej płuc skuteczność wykazuje zastosowanie trójtterapii: prednizolon, azatiopryna i N-acetylcysteina. Rekomenduje się stosowanie kortykosteroidów, jednak w przypadkach nawracającej postaci choroby podkreśla się konieczność rozważenia stosunku korzyści do ryzyka.

Nie odnaleziono rekomendacji odnoszących się do omawianych technologii medycznych.

Podstawa przygotowania rekomendacji

Rekomendacja została przygotowana na podstawie zlecenia z dnia 7.06.2016 r. Ministra Zdrowia (znak pisma: PLD.46434.2465.2016.AP), odnośnie przygotowania rekomendacji Prezesa w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację leku Calcort (deflazacort) we wskazaniach: sarkoidoza, zespół Ormonda, choroba śródmiąższowa płuc, na podstawie art. 31e ust. 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz.U.2015 r. poz. 581 z późn. zm.) oraz w związku z art. 39 ust. 3 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. z 2015 r. poz. 345, z późn. zm.), po uzyskaniu Stanowiska Rady Przejrzystości nr 95/2016 z dnia 29 sierpnia 2016 roku w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację leku Calcort (deflazacort) we wskazaniach: sarkoidoza, zespół Ormonda, choroba śródmiąższowa płuc

Piśmiennictwo

1. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 95/2016 z dnia 29 sierpnia 2016 roku w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację leku Calcort (deflazacort) we wskazaniach: sarkoidoza, zespół Ormonda, choroba śródmiąższowa płuc
2. Raport nr OT.431.2.2016. Calcort (deflazakort) we wskazaniach: sarkoidoza, zespół Ormonda, choroba śródmiąższowa płuc. Opracowanie na potrzeby oceny zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego
3. Rizzato, G., Riboldi, A., Imbimbo, B., Torresin, A., & Milani, S. (1997). The long-term efficacy and safety of two different corticosteroids in chronic sarcoidosis. *Respiratory medicine*, 91(8), 449-460