



**Opinia Rady Przejrzystości
nr 151/2017 z dnia 12 czerwca 2017 roku
w sprawie oceny zasadności wprowadzenia zmian
w dotychczasowym opisie programu lekowego
„Leczenie stwardnienia rozsianego (ICD-10 G 35)”**

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wprowadzenie zmian proponowanych przez Ministra Zdrowia w dotychczasowym opisie programu lekowego „Leczenie stwardnienia rozsianego (ICD-10 G 35)”, w szczególności w zakresie:

- *usunięcia z przeciwwskazań do stosowania octanu glatirameru pkt 3 – ciąża,*
- *zmiany brzmienia kryterium wykluczenia (pkt 3) na: stan kliniczny chorego oceniany w trakcie badania kontrolnego w skali EDSS powyżej 5,0 (w trakcie remisji),*
- *zmiana kryterium wykluczenia dla interferonu na limfopenia poniżej 500/ μ l.*
- *obniżenie wieku pacjentów, u których można stosować leki zawierające substancje czynne: teriflunomidum, dimethylis fumaras oraz peginterferonum beta-1a do 12 roku życia*

pod warunkiem:

- *wprowadzenia do programu obowiązku przekazania chorym kwalifikowanym do terapii pisemnej informacji na temat aktualnego stanu wiedzy na temat bezpieczeństwa i skuteczności stosowania octanu glatirameru u ciężarnych i uzyskania pisemnej świadomej zgody na jego zastosowanie;*
- *wprowadzenia do programu obowiązku stosowania leków zawierających substancje czynne: teriflunomidum, dimethylis fumaras oraz peginterferonum u chorych od 12 do 18 roku życia, wyłącznie w ośrodkach zapewniających leczenie pod opieką zespołów lekarskich składających się z neurologów i neurologów dziecięcych, mających doświadczenie w leczeniu SM, oraz pod warunkiem przekazania opiekunom chorych/chorym kwalifikowanym do terapii wyżej wymienionymi substancjami pisemnej informacji na temat aktualnego stanu wiedzy na temat bezpieczeństwa i skuteczności ich stosowania w tej grupie wiekowej oraz uzyskania pisemnej świadomej zgody na ich zastosowanie.*



Uzasadnienie

W charakterystyce produktu leczniczego dla octanu glatirameru wskazano na możliwość jego stosowania w ciąży w przypadkach, gdy korzyści przekraczają ryzyko. Bezpieczeństwo i skuteczność stosowania leku w tej grupie chorych potwierdzają ograniczonej jakości dowody naukowe – przede wszystkim badania obserwacyjne na małych grupach chorych. Lek nie jest rekomendowany w wytycznych klinicznych, jednak na korzyści wynikające z jego stosowania wskazują eksperci. Wobec ograniczonej ilości dowodów naukowych wskazane jest udzielenie pisemnej informacji ciężarnym na temat ograniczeń dotyczących wiedzy na temat bezpieczeństwa stosowania leku.

Brak jest dostatecznych dowodów naukowych pozwalających na uzasadnienie zmiany kryterium wykluczenia na stan kliniczny chorego oceniany w trakcie badania kontrolnego w skali EDSS powyżej 5,0 (w trakcie remisji), jednak zdaniem ekspertów podwyższenie punktacji uzasadnione jest ze względów klinicznych. Charakterystyki produktów leczniczych zawierających wymienione substancje czynne oraz rekomendacje kliniczne nie odnoszą się do punktacji w skali niepełnosprawności EDSS, wartość progową 5,0 uwzględniono jednak w niektórych rekomendacjach refundacyjnych, wartość ta jest również zgodna z proponowanym w programie punktowym systemem oceny i kwalifikacji do leczenia. Charakterystyki produktów leczniczych zawierających wymienione substancje czynne oraz rekomendacje kliniczne nie odnoszą się także do zmiany kryterium wykluczenia dla interferonu na: limfopenia poniżej 500/ μ l, zmiana ta jest jednak uzasadniona w opinii ekspertów stosujących lek. Nie określono bezpieczeństwa i skuteczności stosowania leków zawierających substancje czynne: teriflunomidum, dimethylis fumaras oraz peginterferonum beta-1a u dzieci od 12 roku życia, jednak niektóre krajowe towarzystwa neurologiczne uznają, że dzieci z SM w wieku <16 lat mogą być leczone wymienionymi wyżej substancjami, pod warunkiem wszakże, iż leczenie to będzie prowadzone w specjalnych klinikach pod opieką zespołu lekarskiego składającego się z neurologów i neurologów dziecięcych mających doświadczenie w leczeniu SM. Należy odnotować brak randomizowanych badań klinicznych dotyczących stosowania teryflunomidu, peginterferonu beta-1a i fumaranu dimetylu w populacji pediatrycznej. Dostępne dane pochodzą z nielicznych analiz retrospektywnych/badań obserwacyjnych/wczesnej fazy, jest więc niezwykle istotne, aby chorzy/ich opiekunowie mieli możliwość zapoznania się z aktualnym stanem wiedzy przed podjęciem decyzji o rozpoczęciu terapii. Konieczne jest także staranne monitorowanie programu lekowego w zakresie jego bezpieczeństwa i okresowe przygotowanie raportów w tym zakresie.

Przedmiot zlecenia

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt. 4 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2016 r., poz. 1793 z późn. zm.), w nawiązaniu do zlecenia Ministra Zdrowia, zawartego w piśmie PLA.4604.431.2017.PB.2 z dnia 26.05.2017 r.

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

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt. 4 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2016 r., poz. 1793 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania „Teryflunomid, fumaran dimetylu, interferon beta, peginterferon beta-1a, octan glatirameru w stwardnieniu rozsianym Opracowanie dotyczące oceny zasadności wprowadzenia zmian w dotychczasowym opisie programu lekowego: „Leczenie stwardnienia rozsianego (ICD-10 G 35)”, nr (OT.434.21.2017), Data ukończenia: 8 czerwca 2017 r.