



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 2/2019 z dnia 14 stycznia 2019 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych,  
w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych,  
leku Defitelio (defibrotide) we wskazaniu:  
zwojak zarodkowy współczulny (ICD-10:C47)

*Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Defitelio (defibrotide), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji o 80 mg/ml, we wskazaniu: zwojak zarodkowy współczulny (ICD-10:C47).*

#### Uzasadnienie

##### Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

*Zwojak zarodkowy współczulny jest najczęstszym nowotworem wieku dziecięcego. Mimo tego jest on chorobą rzadką, w Polsce stwierdza się rocznie około 60-70 nowych zachorowań. Większość rozpoznań zwojaka stawianych jest w IV stopniu zaawansowania choroby, w którym w ramach terapii przeprowadza się przeszczep macierzystych komórek krwiotwórczych (HSCT), którego powikłaniem może być choroba zarostowa żył wątroby (VOD), rozwijająca się u około 20% dzieci, u których przeprowadzono HSCT (w szczególnych przypadkach odsetek ten wzrasta do 60%).*

##### Skuteczność kliniczna i praktyczna

*Wnioskowane wskazanie dotyczy stosowania leku u pacjentów pediatrycznych w ramach profilaktyki VOD u pacjentów z rozpoznaniem zwojaka zarodkowego współczulnego, poddawanych auto-HSCT (rozpoznanie „zwojak zarodkowy współczulny” określone w zleceniu MZ zgodnie z ChPL nie stanowi per se wskazania do stosowania defibrotydu). Lek jest zarejestrowany w leczeniu, a nie profilaktyce VOD - zlecenie MZ dotyczy wskazania off-label.*

##### Bezpieczeństwo stosowania

*Akceptowalne.*

##### Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

*Defitelio nie jest per se technologią ratującą życie, a jedynie wspomaga HSCT. Relacja korzyści do ryzyka jest trudna do oceny, gdyż opiera się o jedno badanie*



randomizowane i przeglądy systematyczne, które nie wykazały wpływu tej technologii na przeżycie.

Konkurencyjność cenowa

Nie do oceny z uwagi na brak alternatywy.

Wpływ na wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorców

Przy szacowanej niewielkiej liczbie pacjentów, wynoszącej 20-30 rocznie, koszt technologii wyniesie [REDACTED] rocznie.

Alternatywna technologia medyczna, w rozumieniu ustawy o świadczeniach, oraz jej efektywność kliniczna i bezpieczeństwo stosowania

Nie istnieje.

Główne argumenty decyzji

Zgodnie z przedkładanym wnioskiem lek ma być stosowany profilaktycznie, a nie leczniczo. Brak jest jednoznacznych dowodów naukowych potwierdzających skuteczność jego stosowania w tym wskazaniu. Defitelio nie jest technologią ratującą życie, a jedynie wspomaga HSCT.

.....  
Prof. IK dr n med. Piotr Szymański

Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości

**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 2018 r., poz. 1510, z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, nr: OT.422.48.2018, „Defitelio (defibrotide) we wskazaniu: zwojak zarodkowy współczulny (ICD-10: C47)”, data ukończenia: 10 stycznia 2019 r.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

*Dane zakreślone kolorem czarnym stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Gentium Srl).*

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem Gentium Srl 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 2016, poz.1764 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:** Gentium Srl