



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezysie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości nr 157/2019 z dnia 10 czerwca 2019 roku w sprawie substancji czynnej sirolimusum we wskazaniu pozarejestacyjnym: zespół Klippel-Trenaunay

Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną sirolimusum we wskazaniu pozarejestacyjnym: zespół Klippel-Trenaunay.

Uzasadnienie

Zespół Klippela-Trénaunaya (KTS, ang. Klippel-Trénaunay syndrome) stanowi grupę malformacji naczyniowych obejmujących triadę objawów podstawowych, takich jak przerost kości i tkanek miękkich (zlokalizowany najczęściej w obrębie kończyny dolnej), rozległe żylaki, zwykle jednej kończyny oraz malformacje naczyń chłonnych, znamiona naczyniowe (naczyniaki), zlokalizowane zazwyczaj na skórze kończyny, której dotyczy wada. Nie ma on wydzielonej grupy w ramach ICD 10.

Postawienie diagnozy u chorych z zespołem Klippela-Trénaunaya wymaga złożonej diagnostyki, z wykorzystaniem ultrasonografii dopplerowskiej, wenografii, arteriografii, spiralnej TK i angio-MR. U pacjentów ze zwiększonym ryzykiem przeciężenia objętościowego serca oraz z licznymi przetokami, należy rozważyć wykonanie badania echokardiograficznego. Diagnostyka pacjentów, u których występuje triada objawów KTS nie stwarza większych problemów.

Odnaleziono trzy wytyczne praktyki klinicznej: amerykańskie - Grupy roboczej ds. zespołu Klippela-Trénaunaya z 2016 roku (KTS Working Group 2016), europejskie - European Society for Vascular Surgery z 2015 roku (ESVS) oraz międzynarodowe - Internationa Union of Phebology (IUP). Jedynie rekomendacje KTS Working Group 2016 odnoszą się do leczenia KTS z zastosowaniem sirolimusu i rekomendują zastosowanie ocenianej interwencji w leczeniu rozległych malformacji limfatycznych, nawracających infekcji czy krwawienia z układu pokarmowego w przebiegu KTS.

Zgodnie z rekomendacjami, postępowanie w przypadku chorych z KTS jest zindywidualizowane. Zależy od stanu pacjenta i możliwości zastosowania poszczególnych interwencji. Zgodnie z danymi literaturowymi, sirolimus jest stosowany u chorych, u których przeprowadzono już interwencje chirurgiczne



i skleroterapię lub stwierdza się przeciwwskazania do tego typu terapii. W związku z tym, nie można ich uznać za terapie alternatywne dla sirolimusu, a za komparator należy przyjąć brak aktywnego leczenia.

Ograniczeniem opinii Rady jest brak dowodów wysokiej jakości, dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa stosowania sirolimusu w KTS. Odnaleziono jedynie opisy przypadków, które odznaczają się zróżnicowaniem w zakresie charakterystyki pacjentów, zwłaszcza odnośnie do wcześniej zastosowanego leczenia.

W celu określenia wydatków związanych z refundacją sirolimusu w ocenianym wskazaniu, oszacowano minimalną (38 chorych) i maksymalną (384 chorych) liczebność pacjentów, na podstawie dostępnych danych epidemiologicznych i demograficznych.

Zgodnie z oszacowaniami analityków Agencji, miesięczny koszt terapii jednego pacjenta sirolimusem, z perspektywy NFZ, wynosi ok. 1 027 PLN, dla 38 pacjentów ok. 39 026 PLN, natomiast dla 384 pacjentów ok. 394 373 PLN. Koszty roczne wynoszą odpowiednio: 12 339 PLN, ok. 468 896 PLN i ok. 4 738 315 PLN.

Przedmiot zlecenia

Zlecenie Ministra Zdrowia, zawarte w piśmie PLR.4604.469.3.2019.KK z dnia 17.05.2019 r. dotyczyło wydania opinii Rady Przejrzystości w sprawie substancji czynnej sirolimusum we wskazaniu pozarejestacyjnym: zespół Klippel-Trenaunay.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 784 z późn. zm.).

Wykorzystane źródła danych:

1. Opracowanie na potrzeby oceny zasadności objęcia refundacją leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego, raport nr: OT.4320.6.2019 „Sirolimusum we wskazaniu: zespół Klippel-Trenaunay”. Data ukończenia: 31 maja 2019 r.