



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 74/2020 z dnia 6 kwietnia 2020 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną dornasum alfa w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego tj. pierwotna dyskineza rzęsek

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną dornasum alfa we wskazaniach pozarejestacyjnych: pierwotna dyskineza rzęsek.

Uzasadnienie

Pierwotna dyskineza rzęsek (PCD – primary ciliary dyskinesia) to rzadkie, genetycznie heterogenne, pierwotne zaburzenie układu oddechowego charakteryzujące się przewlekłą chorobą górnych i dolnych dróg oddechowych. PCD dziedziczona jest w sposób autosomalny recesywny.

Szacowana częstość występowania PCD wynosi 1/15000 – 1/30000 żywych urodzeń, ale jest prawdopodobnie niedoszacowana. Zachorowalność jest trudna do ustalenia, niemniej jest to choroba rzadko rozpoznawana.

Dornaza alfa (lek Pulmosyme) jest refundowany w ramach wskazań rejestacyjnych u chorych z mukowiscydozą, a zgodnie z poprzednimi opiniami Rady Przejrzystości z poprzednich lat (ostatnia z 2017), również w PCD jako wskazaniu pozarejestacyjnym.

Dornaza alfa jest to rekombinowana ludzka dezoksyrybonukleaza, wytwarzana przy użyciu metod inżynierii genetycznej, która jest odpowiednikiem ludzkiego enzymu, hydrolizującego DNA zawarte w plwocinie i znacznie zmniejszającego jej lepkość. Istnieją bardzo słabe dowody naukowe na skuteczność u pacjentów z pierwotną dyskinezą rzęsek, ale jest ona stosowana w tej rzadkiej chorobie i jest ona uważana za skuteczną w praktyce klinicznej. Dotychczasowe opinie Rady Przejrzystości były pozytywne.

Od czasu ostatniej opinii Rady w 2017 roku, pomimo aktualizacji wyszukiwania wytycznych dla wskazania „pierwotna dyskineza rzęsek,” nie odnaleziono opublikowanych rekomendacji odnoszących się do postępowania terapeutycznego w jej przebiegu. Odnaleziono wytyczne praktyki klinicznej ERS



2017r. oraz ATS 2018 dotyczące wyłącznie diagnostyki pierwotnej dyskinezy rzęsek.

Podsumowując, brak jest nowych dowodów naukowych uzasadniających zmianę wcześniej wydawanych, pozytywnych opinii Rady Przejrzystości.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 784 z późn. zm.), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 1373 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania nr: OT.4321.65.2019 „Kolistyna, dornaza alfa we wskazaniu: pierwotna dyskineza rzęsek”, data ukończenia: 1.04.2020 wraz z Anekssem do opracowania nr: BOR.434.7.2017.