



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 114/2022 z dnia 18 lipca 2022 roku

w sprawie substancji czynnych amiloridum + hydrochlorothiazidum
we wskazaniu pozarejestacyjnym: moczówka nerkopochodna

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancje czynne amiloridum + hydrochlorothiazidum we wskazaniu pozarejestacyjnym: moczówka nerkopochodna.

Uzasadnienie

Rada Przejrzystości w latach 2016 i w 2019 dwukrotnie wydała pozytywne opinie (nr 260/2019 i 283/2016) w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych leków zawierających substancje czynne amilorid + hydrochlorotiazyd, we wskazaniu innym niż ujęte w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj.: moczówka nerkopochodna.

Od 2019 roku nie odnaleziono badań z wyższego poziomu dowodów naukowych dotyczących zastosowania amiloridu i hydrochlorotiazynu w populacji pacjentów chorych na moczówkę nerkopochodną, niż te opisane w raportach OT.434.40.2016 i OT.4321.36.2019 (do raportu OT.434.40.2016 włączono dwa badania retrospektywne stanowiące opisy serii przypadków, do raportu OT.4321.36.2019 nie włączono nowych doniesień).

Od 2019 roku publikowano jedynie jedno retrospektywne, przekrojowe badanie kohortowe Lopez-Garcia 2020, obejmujące pacjentów z pierwotną moczówką nerkopochodną, oraz dwa retrospektywne przeglądy dokumentacji medycznej pacjentów z rozpoznaniem moczówki nerkopochodnej: D'Alessandri-Silva 2020 oraz Li 2021.

W publikacji D'Alessandri-Silva 2020 (wieloośrodkowy -16 ośrodków- przegląd retrospektywny danych medycznych 66 pacjentów z USA w wieku poniżej 21 lat z moczówką nerkopochodną) najczęściej stosowanymi lekami były diuretyki tiazydowe (74%), diuretyki oszczędzające potas (67%) i niesteroidowe leki przeciwzapalne (42%). Tiazydy były pierwszymi stosowanymi lekami u większości dzieci, z medianą wieku rozpoczęcia leczenia wynoszącą 5,1 miesiąca (IQR: 1,8, 21,0). Leczenie za pomocą leków oszczędzających potas i NLPZ rozpoczynano odpowiednio w wieku 6,0 miesięcy (IQR: 1,8, 33,4) i 15,5 miesiąca (IQR 3,5, 29,0). Najczęstszymi stosowanymi terapiami



skojarzonymi były tiazyny z diuretykami (33%), tiazyny z diuretykami i NLPZ (17%), tiazyny i NLPZ (15%) lub diuretyki z NLPZ (3%).

Badania włączone, zarówno do niniejszej oceny, jak i wcześniejszych raportów, stanowią dowody o niskiej jakości (badania retrospektywne, serie przypadków), co utrudnia jednoznaczne wnioskowanie, niemniej utrwalona praktyka kliniczna potwierdza, że w początkowej fazie choroby należy wdrożyć systematyczne leczenie za pomocą leków tiazydowych w połączeniu z amilorydem, gdyż daje to najskuteczniejsze zmniejszenie objętości moczu i zachowanie potasu w surowicy z minimalnymi skutkami ubocznymi. Zgodnie z publikacją Li 2021, na skutek leczenia (hydrochlorotiazyd podawany z amilorydem, potasem lub spironolaktonem) poliuria u badanych pacjentów zmniejszyła się średnio o $44\pm 2\%$.

Uwzględniając powyższe, Rada podtrzymuje poprzednio wyrażone opinie.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2022 r., poz. 463), 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 2021 r., poz. 1285 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności dalszego finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr: OT.4221.35.2022 (Aneks do opracowań nr: OT.4321.36.2019 OT.434.40.2016) „Amiloryd + hydrochlorotiazyd we wskazaniu: moczówka nerkopochodna”. Data ukończenia: 12 lipca 2022 r.