



**Protokół nr 27/2014
z posiedzenia Rady Przejrzystości
w dniu 28 lipca 2014 roku
w siedzibie Agencji Oceny Technologii Medycznych**

Członkowie Rady Przejrzystości (Rada) obecni na posiedzeniu:

1. Grzegorz Błażewicz
2. Lucjusz Jakubowski
3. Andrzej Kokoszka
4. Agata Maciejczyk
5. Michał Myśliwiec – udział w posiedzeniu do pkt 12 porządku obrad
6. Tomasz Pasierski
7. Rafał Suwiński
8. Zbigniew Szawarski
9. Piotr Szymański
10. Andrzej Śliwczyński

Porządek obrad:

1. Otwarcie posiedzenia.
2. Omówienie i zatwierdzenie porządku obrad.
3. Omówienie konfliktów interesów członków Rady.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Onglyza (saksagliptyna) we wskazaniu:
 - 1) dwulekowa terapia doustna, w skojarzeniu z:
 - metforminą, kiedy stosowanie tylko samej metforminy w połączeniu z dietą i wysiłkiem fizycznym jest niewystarczające do uzyskania odpowiedniej kontroli glikemii,
 - pochodnymi sulfonylomocznika, kiedy stosowanie tylko samej pochodnej sulfonylomocznika w połączeniu z dietą i wysiłkiem fizycznym jest niewystarczające do uzyskania odpowiedniej kontroli glikemii, u pacjentów, u których stosowanie metforminy nie jest właściwe,
 - 2) trójlekowa terapia doustna, w skojarzeniu z: metforminą i pochodnymi sulfonylomocznika, kiedy stosowanie tylko tych leków (metforminy i pochodnej sulfonylomocznika) w połączeniu z dietą i wysiłkiem fizycznym jest niewystarczające do uzyskania odpowiedniej kontroli glikemii.
5. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Januvia (sitagliptyna) we wskazaniu:
 - 1) leczenie cukrzycy typu 2 u pacjentów u których zastosowanie metforminy w monoterapii nie pozwala osiągnąć odpowiedniej kontroli glikemii w zakresie poziomu Hb1c>7% (>8% w przypadku chorych w wieku >70 lat z wieloletnią cukrzycą >20 lat), oraz u których stosowanie inhibitorów DPP-4 jest preferowane w stosunku do zastosowania pochodnej



- sulfonymocznika z powodu: otyłości przy BMI>35 kg/m² lub wysokiego ryzyka hipoglikemii potwierdzonego udokumentowanym w ciągu 12 miesięcy epizodem ciężkiego niedocukrzenia wymagającym interwencji w warunkach szpitalnych,
- 2) leczenie cukrzycy typu 2 u pacjentów, u których zastosowanie metforminy i sulfonymocznika łącznie nie pozwala osiągnąć odpowiedniej kontroli glikemii w zakresie poziomu HbA_{1c}>7% (>8% w przypadku chorych w wieku >70 lat z wieloletnią cukrzycą > 20 lat).
6. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Rotateq (szczepionka przeciwko rotawirusowi żywa) we wskazaniu: czynne uodpornienie niemowląt w wieku od 6 tygodni do 32 tygodni w celu zapobiegania wystąpieniu zapalenia żołądka i jelit wywołanego zakażeniem rotawirusem.
7. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Sabril (wigabatryna) we wskazaniu: monoterapia napadów padaczkowych u niemowląt (zespół Westa).
8. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej „Leczenie restenozy naczyń wieńcowych za pomocą balonu uwalniającego lek” jako świadczenia gwarantowanego.
9. Przygotowanie stanowiska w sprawie usunięcia świadczenia obejmującego podawanie Nab-paklitakselu (paklitaksel w postaci nanocząsteczkowego kompleksu z albuminą) w rozpoznaniach zakwalifikowanych do kodów ICD-10: C25 (nowotwór złośliwy trzustki), C25.0 (głowa trzustki), C25.8 (zmiana przekraczająca granice jednego umiejscowienia w obrębie trzustki), C25.9 (trzustka, umiejscowienie nieokreślone); realizowanego w ramach „Programu leczenia w ramach świadczenia chemioterapii niestandardowej”.
10. Przygotowanie opinii na temat zasadności finansowania ze środków publicznych leku Noxafil (posaconazolium) we wskazaniach innych niż ujęte w ChPL:
- 1) Jako lek dostępny w aptece, we wskazaniu:
- zespół mielodysplastyczny (MDS) u pacjentów <18 r.ż. przygotowywanych do przeszczepienia komórek krwiotwórczych
 - u pacjentów <18 r.ż. w przewlekłej chorobie ziarniniakowej (D71) charakteryzującej się wysoką częstością grzybiczych zakażeń narządowych
 - we wtórnej profilaktyce przeciwgrzybiczej po przeszczepieniu krwiotwórczych komórek macierzystych u pacjentów <18 r.ż., ukierunkowanej na wcześniej występujące zakażenia grzybicze, do czasu stabilnego wszczepienia i zakończenia leczenia immunosupresyjnego
- 2) jako lek dostępny w chemioterapii: pacjenci <18 r.ż. z ostrą białaczką limfoblastyczną wysokiego ryzyka, z nawrotem ostrej białaczki limfoblastycznej lub ostrej białaczki szpikowej.
11. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Monogen (dieta eliminacyjna), proszek á 400 g, we wskazaniach: deficyt LCHAD; deficyt VLCAD.
12. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Cycloserine (Cycloserinum) kapsułki á 250 mg we wskazaniach: gruźlica płuc, gruźlica płuc lekooporna i wielolekooporna (MDR) oraz mykobakterioza płuc.
13. Przygotowanie opinii w sprawie projektu programu zdrowotnego jednostki samorządu terytorialnego „Program wsparcia leczenia niepłodności mieszkańców Podkarpacia metodą naprotechnologii na lata 2014-2016”.
14. Zamknięcie posiedzenia.

Ad.1. Posiedzenie o godzinie 10:30 otworzył Przewodniczący Rady Tomasz Pasierski.

Ad.2. Rada przyjęła jednogłośnie propozycję porządku obrad przedstawioną przez Tomasza Pasierskiego.

Ad.3. Rada ustosunkowała się do zgłoszonych konfliktów interesów.

Na skutek zgłoszonego konfliktu interesów, jeden z członków Rady został jednogłośnie wyłączony z głosowania i udziału w pracach nad tematami objętymi 4 i 5 pkt porządku obrad.

Ad.4. Pracownik Agencji przedstawił najistotniejsze informacje z analizy weryfikacyjnej Nr: AOTM-OT-4350-16/2014 „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu leku Onglyza (saksagliptyna) w dwulekowej i trójlekowej terapii doustnej stosowanej w cukrzycy typu 2”.

Następnie projekt stanowiska przedstawił wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie członek Rady. Rada postanowiła dyskusję i głosowanie przeprowadzić po przedstawieniu tematu przewidzianego w kolejnym punkcie porządku obrad.

Ad.5. Pracownik Agencji przedstawił najistotniejsze informacje z analizy weryfikacyjnej Nr: AOTM-OT-4350-18/2014 „Wniosek o objęcie refundacją leku Januvia (sitagliptyna) we wskazaniu: dorośli pacjenci z cukrzycą typu 2”.

Następnie projekt stanowiska przedstawił wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie członek Rady. W wyniku przeprowadzonej dyskusji w sprawie tematów objętych 4 i 5 pkt porządku obrad Rada, przyjęła uchwały będące jej stanowiskami, które stanowią załączniki do protokołu:

- 1) Onglyza (saksagliptyna) - w wyniku głosowania 5 głosów za, 4 głosy przeciw;
- 2) Januvia (sitagliptyna) - w wyniku głosowania 5 głosów za, 4 głosy przeciw.

Ad.6. Pracownik Agencji przedstawił najistotniejsze informacje z analizy weryfikacyjnej Nr: AOTM-OT-4350-17/2014 „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu szczepionki Rotateq (szczepionka przeciw rotawirusowi, żywa) we wskazaniu: czynne uodpornienie niemowląt w wieku od 6 tygodni do 32 tygodni w celu zapobiegania wystąpieniu zapalenia żołądka i jelit wywołanego zakażeniem rotawirusem”.

Następnie projekt stanowiska przedstawił wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie członek Rady. W wyniku przeprowadzonej dyskusji Rada, 8 głosami za, przy 2 głosach przeciw, przyjęła uchwałę będącą jej stanowiskiem, która stanowi załącznik do protokołu.

Ad.7. Pracownik Agencji przedstawił najistotniejsze informacje z analizy weryfikacyjnej Nr: AOTM-OT-4350-19/2014 „Wniosek o objęcie refundacją leku Sabril (wigabatryna) we wskazaniu: monoterapia napadów padaczkowych u niemowląt (zespół Westa)”.

Następnie projekty stanowisk przedstawił wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie członek Rady. W wyniku przeprowadzonej dyskusji Rada, przyjęła uchwały będące jej stanowiskami, które stanowią załączniki do protokołu:

- 3) Sabril (wigabatryna) tabl. powł., 500 mg, 100 tabl., kod EAN: 5909990312818 - w wyniku głosowania 9 głosów za, 1 głos przeciw;
- 4) Sabril (wigabatryna) granulat do sporządzania roztworu doustnego, 500 mg, 50 saszetek, kod EAN: 5909990832712 - w wyniku głosowania 10 głosów za, 0 głosów przeciw.

Ponieważ dyskusja na temat oceny różnych postaci leku Sabril trwała nadal, prowadzący posiedzenie Tomasz Pasierski zarządził dokonanie reasumpcji głosowania uchwały dotyczącej leku Sabril tabl. powł., 500 mg, 100 tabl., kod EAN: 5909990312818.

W wyniku przeprowadzonej dyskusji Rada, 10 głosami za, przy 0 głosów przeciw, przyjęła uchwałę będącą jej stanowiskiem, która stanowi załącznik do protokołu.



Ad.8. Pracownik Agencji przedstawił najistotniejsze informacje z raportu Nr: AOTM-OT-430-1/2014 „Leczenie restenozы naczyń wieńcowych za pomocą balonu uwalniającego lek”.

Następnie projekt stanowiska przedstawił członek Rady, wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie.

W wyniku przeprowadzonej dyskusji Rada, 10 głosami za, przy 0 głosów przeciw, przyjęła uchwałę będącą jej stanowiskiem, która stanowi załącznik do protokołu.

Ad.9. Pracownik Agencji przedstawił najistotniejsze informacje z raportu Nr: AOTM-BP-431-21/2014 „Nab-paklitaksel (paklitaksel w postaci nanocząsteczkowego kompleksu z albuminą) w rozpoznaniach zakwalifikowanych do kodu ICD-10: C25, C25.0, C25.8, C25.9”.

Następnie projekt stanowiska przedstawił członek Rady, wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie.

W wyniku przeprowadzonej dyskusji Rada, 10 głosami za, przy 0 głosów przeciw, przyjęła uchwałę będącą jej stanowiskiem, która stanowi załącznik do protokołu.

Ad.10. Projekt opinii na temat zasadności finansowania ze środków publicznych leku Noxafil (posaconazolium), o którym mowa w piśmie Ministra Zdrowia z dnia 18.07.2014 r. nr MZ-PLA-460-17140-7/AD/14, we wskazaniach innych niż ujęte w ChPL – przedstawił wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie członek Rady.

W wyniku przeprowadzonej dyskusji Rada 10 głosami za przy 0 głosów przeciw przyjęła uchwałę, będącą jej opinią, która stanowi załącznik do protokołu.

Ad.11. Pracownik Agencji przedstawił najistotniejsze informacje z raportu Nr: AOTM-RK-431-23/2014 „Monogen (dieta eliminacyjna) proszek á 400 g we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD”.

Następnie projekt stanowiska przedstawił członek Rady, wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie.

W wyniku przeprowadzonej dyskusji Rada, 10 głosami za, przy 0 głosów przeciw, przyjęła uchwałę będącą jej stanowiskiem, która stanowi załącznik do protokołu.

Ad.12. Pracownik Agencji przedstawił najistotniejsze informacje z raportu Nr: AOTM-OT-431-21/2014 “Cycloserine (Cycloserinum) kapsułki á 250 mg we wskazaniach: gruźlica płuc, gruźlica płuc lekooporna i wielolekooporna (MDR), mykobakterioza płuc”.

Następnie projekt stanowiska przedstawił członek Rady, wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie.

W wyniku przeprowadzonej dyskusji Rada, 10 głosami za, przy 0 głosów przeciw, przyjęła uchwałę będącą jej stanowiskiem, która stanowi załącznik do protokołu.

Ad.13. Pracownik Agencji przedstawił najistotniejsze informacje z raportu nr: AOTM-OT-441-105/2014 „Program wsparcia leczenia niepłodności mieszkańców Podkarpacia metodą naprotechnologii na lata 2014-2016”.

Następnie projekt opinii przedstawił członek Rady, wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie.

W wyniku przeprowadzonej dyskusji Rada, 9 głosami za, przy 0 głosów przeciw, przyjęła uchwałę będącą jej opinią, która stanowi załącznik do protokołu.

Ad.14. Prowadzący posiedzenie Tomasz Pasiński zakończył posiedzenie Rady o godzinie 15:30.

Protokół zatwierdził prowadzący posiedzenie:

.....
Tomasz Pasiński
Przewodniczący Rady Przejrzystości



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 224/2014 z dnia 28 lipca 2014 r.
w sprawie oceny leku Onglyza (saksagliptyna)
(kod EAN: 5909990729357)
we wskazaniu: dwulekowa terapia doustna w cukrzycy typu 2;
trójlekowa terapia doustna w cukrzycy typu 2

Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Onglyza (saksagliptyna) (kod EAN: 5909990729357) we wskazaniu:

1) dwulekowa terapia doustna, w skojarzeniu z: (1)

; (2)

2) trójlekowa terapia doustna, w skojarzeniu z: (3)

w ramach [redacted], wspólnej dla inhibitorów DPP-4, grupy limitowej i wydawanie go pacjentom z odpłatnością [redacted], przy wskazaniach do wprowadzenia wnioskowanych schematów terapeutycznych, pod warunkiem znacznego obniżenia ceny leku. Rada nie akceptuje zaproponowanego [redacted] w jego aktualnej postaci i wskazuje jednocześnie na konieczność redukcji ceny leku do poziomu, przy którym koszty wnioskowanych terapii – dwu- lub trójlekowej – nie będą znacząco rosły, zarówno z perspektywy płatnika publicznego jak i pacjenta w stosunku do leczenia metforminą i/lub pochodnymi sulfonilomocznika.

Uzasadnienie

Dostępne wyniki badań terapii z wykorzystaniem leku Onglyza (saksagliptyna) potwierdzają efektywność kliniczną w odniesieniu do pośrednich, zastępczych punktów końcowych, nie wykazują natomiast przewagi nad terapiami



dotychczas stosowanymi w odniesieniu do ważnych klinicznie punktów końcowych (zawał, udar, niedokrwienie kończyny).

Saksagliptyna, należąca do grupy leków działających poprzez układy inkretynowe, podobnie jak inne preparaty z grupy inhibitorów DPP-4, a także leki z grupy agonistów receptora GLP-1, charakteryzuje się udokumentowanym naukowo działaniem hipoglikemizującym. Wpływa również na redukcję masy ciała. Jej dodatkową zaletą jest stosowanie doustne. Na podstawie przeglądów systematycznych obejmujących wysokiej i średniej jakości wyniki badań naukowych, w tym także badań randomizowanych III fazy można wnioskować, choć nie są to w większości badań wnioski dedykowane saksagliptynie, że zarówno agoniści receptora GLP-1 jak i inhibitory DPP-4 prowadzą do redukcji poziomu hemoglobiny glikowanej jak i poziomu glukozy na czczo. Efekty w tym zakresie są podobne lub lepsze w porównaniu do monoterapii metforminą, czy pochodnymi sulfonilomocznika lub też podczas leczenia skojarzonego tymi preparatami. Inhibitory DPP-4, w tym saksagliptyna są dobrze tolerowane w skojarzeniu z metforminą lub pochodnymi sulfonilomocznika u pacjentów, u których stosowanie metforminy nie jest możliwe. Stosowanie inhibitorów DPP-4 ułatwia wówczas kontrolę glikemii, przy udokumentowanym lub neutralnym wpływie na masę ciała. Mniejsze jest ryzyko wystąpienia hipoglikemii. Korzystny może być ich wpływ na profil lipidowy. Wskazania do terapii powinny być weryfikowane po 6 miesiącach leczenia na podstawie oceny skali redukcji poziomu hemoglobiny glikowanej. Stosowanie inhibitorów DPP-4 w wybranej grupie chorych jest zalecane w wytycznych Polskiego Towarzystwa Diabetologicznego z roku 2014. Redukcja kosztów stosowania leków z tej grupy dla płatnika publicznego, niezależnie od wniosku o zmniejszenie ich ceny zbytu oraz korzystniejszy [REDAKTOWANE], może nastąpić także dzięki opracowaniu precyzyjnych kryteriów włączenia do terapii oraz ich przestrzegania.

.....
Przewodniczący Rady Przejrzystości

prof. Tomasz Pasierski

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych AOTM-OT-4350-16/2014, „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu leku Onglyza (saksagliptyna) w dwulekowej i trójlekowej terapii doustnej stosowanej w cukrzycy typu 2”, 17 lipca 2014 r.

Inne wykorzystane źródła danych, oprócz wskazanych w ww. raporcie:

1. Nie dotyczy

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy – AstraZeneca AB.

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem AstraZeneca AB 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. Nr 112, poz. 1198, 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.

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: AstraZeneca AB.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 225/2014 z dnia 28 lipca 2014 r.
w sprawie oceny leku Januvia (sitagliptyna)
(kod EAN: 5909990055920)
we wskazaniach: leczenie cukrzycy typu 2 u pacjentów dorosłych

Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Januvia (sitagliptyna) (kod EAN: 5909990055920) we wskazaniu:

1)

2)

w ramach [redacted] grupy limitowej i wydawanie go pacjentom za [redacted] odpłatnością. Rada wskazuje jednocześnie na konieczność redukcji ceny leku do poziomu, przy którym koszty wnioskowanych terapii – dwu- lub trójlekowej – nie będą znacząco rosły, zarówno z perspektywy płatnika publicznego jak i pacjenta w stosunku do leczenia metforminą i/lub pochodnymi sulfonilomocznika.

Uzasadnienie

Dostępne wyniki badań terapii z wykorzystaniem leku Januvia (sitagliptyna) potwierdzają efektywność kliniczną w odniesieniu do pośrednich, zastępczych punktów końcowych, nie wykazują natomiast przewagi nad terapiami dotychczas stosowanymi w odniesieniu do ważnych klinicznie punktów końcowych (zawał, udar, niedokrwienie kończyny).

W odniesieniu do [redacted] stosowanie terapii dwulekowej z zastosowaniem metforminy wraz z sitagliptyną wykazało obniżenie poziomu HbA1c, ale bez wpływu na masę ciała pacjentów. Natomiast porównanie terapii



dwulekowej z wykorzystaniem pochodnych sulfonylomocznika wykazuje że więcej pacjentów z grupy pochodnych sulfonylomocznika uzyskuje poziom hemoglobiny glikowanej <7%. Terapia z wykorzystaniem sitagliptyny powodowała istotnie statystycznie większy spadek masy ciała w porównaniu z pochodnymi sulfonylomocznika. Metaanaliza wykazała dobry profil bezpieczeństwa terapii złożonych z wykorzystaniem sitagliptyny w zakresie: zdarzeń niepożądanych ogółem, zdarzeń niepożądanych związanych z leczeniem oraz hipoglikemii, jednakże wyniki analizowanych RCT badań klinicznych nie badały wpływu sitagliptyny na klinicznie istotne związane z cukrzycą punkty końcowe.

W odniesieniu do [REDAKTOWANE] dla terapii trójlekowej z wykorzystaniem sitagliptyny wraz z metforminą i pochodną sulfonylomocznika w porównaniu do terapii z wykorzystaniem placebo + metformina + pochodne sulfonylomocznika analizy wykazały większą skuteczność w zakresie pośrednich punktów końcowych: zmiana poziomu HbA1c, zmiana poziomu glukozy. Jednocześnie w badaniach wykazano istotnie statystycznie większy wzrost masy ciała w grupie objętej terapią trójlekową z sitagliptyną. Zdarzenia niepożądane związane z leczeniem były obserwowane częściej w grupie pacjentów poddanych terapii trójlekowej w porównaniu z grupą kontrolną. Porównanie terapii trójlekowej sitagliptyny z terapią trójlekową z insuliną wykazała istotną statystycznie różnicę pod względem częstości występowania hipoglikemii w schemacie z sitagliptyną.

Przedstawione wyniki analizy ekonomicznej należy traktować z ostrożnością ze względu na wybór technik analitycznych oraz możliwe obniżenia kosztów komparatorów w mechanizmach RSS.

Biorąc pod uwagę analizę wpływu na budżet przyjęta populacja wejściowa jest niedoszacowana w związku z tym wynik analizy wpływu na budżet jest zaniżony.

.....
Przewodniczący Rady Przejrzystości

prof. Tomasz Pasierski

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych AOTM-OT-4350-18/2014, „Wniosek o objęcie refundacją leku Januvia (sitagliptyna) we wskazaniu: dorośli pacjenci z cukrzycą typu 2”, lipiec 2014 r.

Inne wykorzystane źródła danych, oprócz wskazanych w ww. raporcie:

1. Nie dotyczy

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane określone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy MSD Polska Dystrybucja Sp. z o.o.

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem MSD Polska Dystrybucja Sp. z o.o. 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. Nr 112, poz. 1198 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

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: MSD Polska Dystrybucja Sp. z o.o.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 226/2014 z dnia 28 lipca 2014 r.

w sprawie oceny szczepionki Rotateq (szczepionka przeciw rotawirusowi, żywa) (kod EAN: 5909990609277) we wskazaniu czynne uodpornienie niemowląt w wieku od 6 tygodni do 32 tygodni w celu zapobiegania wystąpieniu zapalenia żołądka i jelit wywołanego zakażeniem rotawirusem

Rada Przejrzystości uważa za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Rotateq (szczepionka przeciw rotawirusowi, żywa) (kod EAN: 5909990609277) we wskazaniu: czynne uodpornienie niemowląt w wieku od 6 tygodni do 32 tygodni w celu zapobiegania wystąpieniu zapalenia żołądka i jelit wywołanego zakażeniem rotawirusem.

Uzasadnienie

Wyniki badań wskazują na dobrze udokumentowaną skuteczność szczepionki jedynie w pierwszym i drugim sezonie epidemiologicznym i w okresie do 2 lat po szczepieniu. Wysoka cena leku (powyżej progu efektywności kosztowej), przy stosunkowo niedużym zagrożeniu życia w przypadku infekcji oraz przy nierefundowaniu innych szczepionek zapobiegających infekcjom o znacznie poważniejszych konsekwencjach zdrowotnych. Wnioskowana szczepionka jest refundowana w nielicznych krajach UE, w tym jedynie jednym o PKB per capita zbliżonym do Polski.

Uwagi Rady

Wskazane jest stworzenie przez Ministerstwo Zdrowia, w porozumieniu z ekspertami, listy priorytetów w zakresie refundacji szczepionek.



.....
Przewodniczący Rady Przejrzystości

prof. Tomasz Pasierski

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych AOTM-OT-4350-17/2014, „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu szczepionki Rotateq (szczepionka przeciw rotawirusowi, żywa) we wskazaniu: czynne uodpornienie niemowląt w wieku od 6 tygodni do 32 tygodni w celu zapobiegania wystąpieniu zapalenia żołądka i jelit wywołanego zakażeniem rotawirusem”, 17.07.2014 r.

Inne wykorzystane źródła danych, oprócz wskazanych w ww. raporcie:

1. Nie dotyczy



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 227/2014 z dnia 28 lipca 2014 r.
w sprawie oceny leku Sabril (wigabatryna), kod EAN: 5909990312818
we wskazaniu monoterapia napadów padaczkowych u niemowląt
(zespół Westa)

Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Sabril (wigabatryna) tabl. powł., 500 mg, 100 tabl., kod EAN: 5909990312818 we wskazaniu: monoterapia napadów padaczkowych u niemowląt (zespół Westa), w ramach [redacted] grupy limitowej i wydawanie go pacjentom w ramach odpłatności [redacted].

Uzasadnienie

Badania słabej jakości wskazują, że wigabatryna charakteryzuje się skutecznością w leczeniu napadów padaczkowych typu zgięciowego (zespół Westa) u niemowląt, aczkolwiek brak jest badań porównujących go z kwasem walproinowym. Stosowanie wigabatryny wiąże się z poważnymi objawami niepożądanymi, szczególnie utratą wzroku. Zalecenia towarzystw naukowych oraz NICE i opinie wszystkich 4 ekspertów wskazują na zasadność stosowania wigabatryny w leczeniu napadów zgięciowych, szczególnie u pacjentów ze stwardnieniem guzowatym, ale także w zespole Westa o innej etiologii. Koszt leku nie przekracza progu efektywności kosztowej.

.....

Przewodniczący Rady Przejrzystości
prof. Tomasz Pasiński

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych AOTM-OT-4350-19/2014, „Wniosek o objęcie refundacją leku Sabril (wigabatryna) we wskazaniu: monoterapia napadów padaczkowych u niemowląt (zespół Westa)”, 18 lipca 2014 r.

Inne wykorzystane źródła danych, oprócz wskazanych w ww. raporcie:

1. Nie dotyczy



KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy – Sanofi-Aventis sp z.o.o.

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Sanofi-Aventis sp z.o.o. 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. Nr 112, poz. 1198, 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.

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Sanofi-Aventis sp z.o.o



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 227/2014 z dnia 28 lipca 2014 r.
w sprawie oceny leku Sabril (wigabatryna), kod EAN: 5909990312818
we wskazaniu monoterapia napadów padaczkowych u niemowląt
(zespół Westa)

Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Sabril (wigabatryna) tabl. powł., 500 mg, 100 tabl., kod EAN: 5909990312818 we wskazaniu: monoterapia napadów padaczkowych u niemowląt (zespół Westa), w ramach [redacted] grupy limitowej i wydawanie go pacjentom w ramach odpłatności [redacted], pod warunkiem zapewnienia odpowiedniej kontroli okulistycznej leczonych chorych.

Uzasadnienie

Badania słabej jakości wskazują, że wigabatryna charakteryzuje się skutecznością w leczeniu napadów padaczkowych typu zgięciowego (zespół Westa) u niemowląt, aczkolwiek brak jest badań porównujących go z kwasem walproinowym. Stosowanie wigabatryny wiąże się z poważnymi objawami niepożądanymi, szczególnie utratą wzroku. Zalecenia towarzystw naukowych oraz NICE i opinie wszystkich 4 ekspertów wskazują na zasadność stosowania wigabatryny w leczeniu napadów zgięciowych, szczególnie u pacjentów ze stwardnieniem guzowatym, ale także w zespole Westa o innej etiologii. Koszt leku nie przekracza progu efektywności kosztowej.

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

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych AOTM-OT-4350-19/2014, „Wniosek o objęcie refundacją leku Sabril (wigabatryna) we wskazaniu: monoterapia napadów padaczkowych u niemowląt (zespół Westa)”, 18 lipca 2014 r.

Inne wykorzystane źródła danych, oprócz wskazanych w ww. raporcie:

1. Nie dotyczy



KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy – Sanofi-Aventis sp z.o.o.

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Sanofi-Aventis sp z.o.o. 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. Nr 112, poz. 1198, 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.

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Sanofi-Aventis sp z.o.o



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 228/2014 z dnia 28 lipca 2014 r.
w sprawie oceny leku Sabril (wigabatryna) kod EAN: 5909990832712
we wskazaniu monoterapia napadów padaczkowych u niemowląt
(zespół Westa)

Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Sabril (wigabatryna) granulat do sporządzania roztworu doustnego, 500 mg, 50 saşetek, kod EAN: 5909990832712 we wskazaniu: monoterapia napadów padaczkowych u niemowląt (zespół Westa), w ramach [redacted] grupy limitowej i wydawanie go pacjentom w ramach odpłatności [redacted], pod warunkiem zapewnienia odpowiedniej kontroli okulistycznej leczonych chorych.

Uzasadnienie

Badania słabej jakości wskazują, że wigabatryna charakteryzuje się skutecznością w leczeniu napadów padaczkowych typu zgięciowego (zespół Westa) u niemowląt, aczkolwiek brak jest badań porównujących go z kwasem walproinowym. Stosowanie wigabatryny wiąże się z poważnymi objawami niepożądanyymi, szczególnie utratą wzroku. Zalecenia towarzystw naukowych oraz NICE i opinie wszystkich 4 ekspertów wskazują na zasadność stosowania wigabatryny w leczeniu napadów zgięciowych, szczególnie u pacjentów ze stwardnieniem guzowatym, ale także w zespole Westa o innej etiologii. Koszt leku nie przekracza progu efektywności kosztowej.

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

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych AOTM-OT-4350-19/2014, „Wniosek o objęcie refundacją leku Sabril (wigabatryna) we wskazaniu: monoterapia napadów padaczkowych u niemowląt (zespół Westa)”, 18 lipca 2014 r.

Inne wykorzystane źródła danych, oprócz wskazanych w ww. raporcie:

1. Nie dotyczy



KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy – Sanofi-Aventis sp z.o.o.

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Sanofi-Aventis sp z.o.o. 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. Nr 112, poz. 1198, 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.

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Sanofi-Aventis sp z.o.o



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 229/2014 z dnia 28 lipca 2014 r.

w sprawie zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej „Leczenie restenozы naczyń wieńcowych za pomocą balonu uwalniającego lek” jako świadczenia gwarantowanego

Rada Przejrzystości uważa za zasadne zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „Leczenie restenozы naczyń wieńcowych za pomocą balonu uwalniającego lek” jako świadczenia gwarantowanego, pod warunkiem ograniczenia wskazań do restenozы w stencie i zastosowania balonów uwalniających lek (DEB), których skuteczność udokumentowano w dobrej jakości badaniach naukowych. Zasadne jest aby cena DEB była porównywalna z ceną DES - stentów uwalniających leki (II generacji).

Uzasadnienie

Przeglądy systematyczne umiarkowanej jakości randomizowanych badań klinicznych potwierdzają przewagę skuteczności leczenia restenozы w stentach metalowych (BMS) i powlekanych (DES) za pomocą DEB, w porównaniu z angioplastyką balonową (POBA). Skuteczność DEB i implantacji kolejnego stentu DES w leczeniu restenozы w stentach BMS i DES jest, w przypadku większości istotnych punktów końcowych, porównywalna. W grupie chorych z restenozą po implantacji stentu DES stosowanie DEB może być szczególnie uzasadnione np. w przypadku trudności technicznych związanych z implantacją kolejnego stentu DES (stent-in-stent) lub gdy istnieją powody do skrócenia okresu stosowania podwójnego leczenia przeciwplatekowego. W chwili obecnej brak jest dostatecznej ilości dobrej jakości dowodów naukowych aby uznać za jednoznacznie potwierdzoną skuteczność interwencji za pomocą DEB w innych wskazaniach (np. w chorobie małych naczyń).

Wyniki randomizowanych badań klinicznych z DEB dotyczą jedynie balonu Sequent Please. W przypadku części pozostałych DEB dostępne są jedynie ograniczone dane pochodzące z rejestrów klinicznych (2 badania rejestrowe dla balonu DIOR, po jednym badaniu dla balonu Panthera Lux, Elutax oraz Moxycy - w tym ostatnim przypadku liczebność grupy badanej była bardzo mała). W przypadku balonu IN.PACT dowody naukowe pochodzą z pojedynczej pracy dwuośrodkowej. Częstość występowania niektórych istotnych punktów końcowych w badaniach rejestrowych była zróżnicowana (np. wyższa częstość występowania ponownych rewaskularyzacji w badaniu rejestrowym z IN.PACT). Brak jest badań bezpośrednio porównujących skuteczność poszczególnych DEB



jak i formalnych analiz pośrednich, jednak uzyskane wyniki (np. wyższa częstość występowania niektórych punktów końcowych po zastosowaniu balonu Elutax w porównaniu z balonem Sequent Please w rejestrze SCAAR) mogą wskazywać na zróżnicowaną skuteczność poszczególnych technologii. Ponieważ poszczególne DEB różnią się m.in. dawką leku, nośnikiem, wskaźnikami uwalniania z powierzchni balonu i koncentracją w ścianie naczyń, do chwili ukazania się kolejnych wyników badań zasadne jest stosowanie balonów o lepiej udokumentowanej skuteczności (Sequent Please, w dalszej kolejności DIOR, Panthera Lux).

Ponieważ skuteczność DEB i implantacji DES (stent-in-stent) w leczeniu restenozy jest porównywalna, zasadne jest aby cena produktu (balonu DEB) była porównywalna z ceną stentu DES II generacji.

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

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31 c ust. 6 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, z uwzględnieniem raportu Agencji Oceny Technologii Medycznych AOTM-OT-430-1/2014, „Leczenie restenozy naczyń wieńcowych za pomocą balonu uwalniającego lek”, 21.07.2014.

Inne wykorzystane źródła danych, oprócz wskazanych w ww. raporcie:

1. Nie dotyczy



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 230/2014 z dnia 28 lipca 2014 r.

w sprawie usunięcia świadczenia obejmującego podawanie nab-paklitakselu (paklitaxel w postaci nanocząsteczkowego kompleksu z albuminą) w rozpoznaniach zakwalifikowanych do kodów ICD-10: C25, C25.0, C25.8, C25.9, realizowanego w ramach „Programu leczenia w ramach świadczenia chemioterapii niestandardowej”

Rada Przejrzystości uważa za zasadne usunięcie świadczenia obejmującego podawanie nab-paklitakselu (paklitaxel w postaci nanocząsteczkowego kompleksu z albuminą) w rozpoznaniach zakwalifikowanych do kodów ICD-10: C25 (nowotwór złośliwy trzustki), C25.0 (głowa trzustki), C25.8 (zmiana przekraczająca granice trzustki), C25.9 (trzustka, umiejscowienie nieokreślone) realizowanego w ramach „Programu leczenia w ramach świadczenia chemioterapii niestandardowej”.

Uzasadnienie

Wyniki badania klinicznego III fazy wskazują, że w leczeniu chorych na rozsiały raka gruczołowego trzustki nab-paclitaxel w skojarzeniu z gemcytabiną wykazuje nieznacznie większą skuteczność w porównaniu z samodzielną chemioterapią gemcytabiną. Miarą tego jest wydłużenie mediany czasu przeżycia chorych z 6.7 miesiąca do 8.5 miesiąca (różnica 1.8 miesiąca) i wymierna redukcja ryzyka zgonu ($RR=0.72$) [1]. Stosunkowo niewielki zysk kliniczny i wysoki koszt leczenia nab-paclitaxelem sprawia jednak, że według analiz farmakoekonomicznych inkrementalny współczynnik efektywności-kosztów dla tej terapii znacząco przekracza próg dla technologii efektywnych kosztowo w Polsce. Jednocześnie, wyniki innego badania dotyczącego leczenia chorych na rozsiały raka gruczołowego trzustki, w którym porównywano stosowanie samodzielnej chemioterapii gemcytabiną ze schematem FOLFIRINOX [2] sugerują pośrednio większy zysk w zakresie wydłużenia mediany czasu przeżycia chorych (6.8 vs. 11.1 miesiąca-różnica 4.3 miesiąca) i większą redukcję ryzyka zgonu ($RR=0.57$) niż w przypadku skojarzenia nab-paclitaxelu z gemcytabiną. Jakkolwiek wszelkie porównania pośrednie obarczone mogą być błędem, a kryteria włączenia do badań [1] i [2] nieznacznie różniły się, to aktualnie brak jest klinicznych, patologicznych lub biochemicznych czynników predykcyjnych pozwalających wyłonić grupę chorych, która mogłaby odnieść



większy zysk ze stosowania schematu nab-paclitaxel z gemcytabiną w porównaniu ze schematem FOLFIRINOX.

.....

Przewodniczący Rady Przejrzystości
prof. Tomasz Pasierski

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31 e ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2008 r. Nr 164, poz.1027 z późn .zm.), z uwzględnieniem raportu „Nab-paklitaxel (paklitaxel w postaci nanocząsteczkowego kompleksu z albuminą) w rozpoznaniach zakwalifikowanych do kodu ICD-10: C25, C25.0, C25.8, C25.9”, AOTM-BP-431-21/2014, 25 lipiec 2014 r.

Inne wykorzystane źródła danych, oprócz wskazanych w ww. raporcie:

1. Von Hoff DD i wsp. . Increased survival in pancreatic cancer with nab-paclitaxel plus gemcitabine. N Engl J Med. 2013 Oct 31;369(18):1691-703
2. Conroy T I wsp. FOLFIRINOX versus gemcitabine for metastatic pancreatic cancer. N Engl J Med. 2011 May 12;364(19):1817-25.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 221/2014 z dnia 28 lipca 2014 r.

w sprawie zasadności finansowania produktu leczniczego Noxafil (posaconazolum) w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego

Rada uważa za zasadne finansowanie produktu leczniczego Noxafil (posaconazolum) w zakresie następujących wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego:

- *jako lek dostępny na receptę, we wskazaniu: zespół mielodysplastyczny (MDS) u pacjentów <18 r.ż. przygotowujących do przeszczepienia komórek krwiotwórczych;*
- *jako lek dostępny na receptę, we wskazaniu: u pacjentów <18 r.ż. w przewlekłej chorobie ziarniniakowej (D71) charakteryzującej się wysoką częstością grzybiczych zakażeń narządowych;*
- *jako lek dostępny na receptę, we wskazaniu: we wtórnej profilaktyce przeciwgrzybiczej po przeszczepieniu krwiotwórczych komórek macierzystych u pacjentów <18 r.ż., ukierunkowanej na wcześniej występujące zakażenia grzybicze, do czasu stabilnego wszczepienia i zakończenia leczenia immunosupresyjnego;*
- *jako lek dostępny na receptę: pacjenci <18 r.ż. z ostrą białaczką limfoblastyczną wysokiego ryzyka, z nawrotem ostrej białaczki limfoblastycznej lub ostrej białaczki szpikowej.*

Uzasadnienie

Obecna rekomendacja jest zgodna z wcześniejszym stanowiskiem RP z 24 marca 2014 r. zalecającym ograniczenie finansowania leku Noxafil (posaconazolum) do grup najwyższego ryzyka zakażenia aspergilozą i nietolerujących flukonazolu lub itraconazolu. Rada zwraca uwagę, że dane naukowe dotyczące bezpieczeństwa stosowania leku w grupie chorych poniżej 13 r. ż. są ograniczone.

Noxafil (posaconazol) jest lekiem stosowanym, zgodnie z charakterystyką produktu leczniczego, w leczeniu wybranych inwazyjnych zakażeń grzybiczych u



dorostych. Ocena skuteczności i bezpieczeństwa stosowania tego leku u pacjentów poniżej 18 roku życia oparta jest o dowody naukowe miernej i niskiej jakości, pochodzące głównie z analizy podgrup chorych pediatrycznych biorących udział w badaniach z udziałem dorosłych, badań retrospektywnych lub opisów przypadków. Skuteczność i bezpieczeństwo stosowania posaconazolu w porównaniu z itraconazolem i voriconazolem w profilaktyce przeciwgrzybiczej po przeszczepieniu krwiotwórczych komórek macierzystych w populacji pediatrycznej oceniono w badaniu retrospektywnym z udziałem 150 chorych: oceniane leki wykazały podobną skuteczność [1]. Europejskie rekomendacje kliniczne, sformułowane w oparciu o systematyczny przegląd piśmiennictwa, dopuszczają stosowanie posaconazolu w omawianych wskazaniach pod warunkiem ograniczenia stosowania leku do chorych w wieku 13 lub więcej lat [2,3].

Przedmiot wniosku

Zlecenie Ministra Zdrowia, pismo MZ-PLA-460-17140-7/AD/14, dotyczyło przygotowania, na podstawie art. 40 ust. 1 ustawy z dnia 12 maja 2011 roku o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. Nr 122 poz. 696 z późn. zm.), w związku z art. 31n pkt 5 oraz art. 31s ust. 6 pkt 5 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 roku o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2008 roku, Nr 164 poz. 1027, z późn. zm.), opinii Rady Przejrzystości w sprawie wydania z urzędu decyzji o objęciu refundacją leku, przy danych klinicznych, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego w rozumieniu ustawy z dnia 6 września 2001 r. – Prawo farmaceutyczne (Dz. U. z 2008 roku, Nr 45, poz. 271, z późn. zm.) w zakresie leczniczego Noxafil (posaconazolium, zawiesina doustna 40 mg/ml, 105 ml, kod EAN: 5909990335244) we wskazaniach zgodnych z poniższą tabelą.

Subst. czynna	Nazwa, postać, zawartość, opakowania, kod EAN	Wskazania pozarejestrycyjne objęte refundacją, których dotyczy niniejsza opinia
Posaconazolium	Noxafil, zawiesina doustna 40 mg/ml, 105 ml, kod EAN: 5909990335244	jako lek dostępny w aptece, we wskazaniu: zespół mielodysplastyczny (MDS) u pacjentów <18 r.ż. przygotowywanych do przeszczepienia komórek krwiotwórczych
		jako lek dostępny w aptece, we wskazaniu: u pacjentów <18 r.ż. w przewlekłej chorobie ziarniniakowej (D17) charakteryzującej się wysoką częstością grzybiczych zakażeń narządowych
		jako lek dostępny w aptece, we wskazaniu: we wtórnej profilaktyce przeciwgrzybiczej po przeszczepieniu krwiotwórczych komórek macierzystych u pacjentów <18 r.ż., ukierunkowanej na wcześniej występujące zakażenia grzybicze, do czasu stabilnego wszczepienia i zakończenia leczenia immunosupresyjnego
		jako lek dostępny w chemioterapii: pacjenci <18 r.ż. z ostrą białaczką limfoblastyczną wysokiego ryzyka, z nawrotem ostrej białaczki limfoblastycznej lub ostrej białaczki szpikowej

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

Tryb wydania stanowiska

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. 2011 nr 122 poz. 696 z późn. zm.) w związku z art. 31s ust. 6 p. 5 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych Dz.U. 2004 Nr 210 poz. 2135 z późn. zm.).

Inne wykorzystane źródła danych, oprócz wskazanych w ww. raporcie:

1. Doring M I wsp. Comparison of itraconazole, voriconazole, and posaconazole as oral antifungal prophylaxis in pediatric patients following allogeneic hematopoietic stem cell transplantation. *Eur J Clin Microbiol Infect Dis.* 2014 Apr;33(4):629-38
2. Science M I wsp. Guideline for primary antifungal prophylaxis for pediatric patients with cancer or hematopoietic stem cell transplant recipients. *Pediatr Blood Cancer.* 2014 Mar;61(3):393-400.
3. Groll AH I wsp. Fourth European Conference on Infections in Leukaemia (ECIL-4): guidelines for diagnosis, prevention, and treatment of invasive fungal diseases in paediatric patients with cancer or allogeneic haemopoietic stem-cell transplantation. *Lancet Oncol.* 2014 Jul;15(8):e327-e340.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 231/2014 z dnia 28 lipca 2014 r.
w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację produktu
lecniczego Monogen (dieta eliminacyjna) we wskazaniach:
deficyt LCHAD, deficyt VLCAD

Rada Przejrzystości uważa za zasadne wydawanie zgody na refundację produktu leczniczego Monogen (dieta eliminacyjna), we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD.

Uzasadnienie

Badania kliniczne dotyczące skuteczności preparatu Monogen, w tym badania porównujące Monogen z innymi produktami dietetycznymi specjalnego przeznaczenia nie są dostępne ze względu na bardzo małą liczbę chorych.

Jednym z zaleceń zawartych w rekomendacjach klinicznych (UK 2012 i 2013, Spiekerkoetter 2009, Washington State Departament of Health 2010, EFNS 2006, Solis 2002) jest stosowanie dietetycznych środków specjalnego przeznaczenia żywieniowego z niską zawartością triglicerydów długołańcuchowych (LCT), a zawierających triglicerydy średniołańcuchowe (MCT). W rekomendacjach brak jest wskazania konkretnego produktu, bądź wymienianych jest kilka produktów, w tym preparat Monogen. Produkty lecznicze stosowane u chorych z deficytem LCHAD albo deficytem VLCAD, należą do jednej kategorii, ale różnią się od siebie składem jakościowym i ilościowym. Brak jest przesłanek do wyboru tylko jednego z nich. Eksperti kliniczni podkreślają, że dobór preparatu powinien być uzależniony od wieku, stanu klinicznego i tolerancji produktu przez pacjenta. Dostępne publikacje wskazują na skuteczność i bezpieczeństwo stosowania diety bogatej w MCT i ubogiej w LCT.

Z danych wynika, że import docelowy produktu leczniczego Monogen dotyczyłby niewielkiej liczby chorych.



.....
Przewodniczący Rady Przejrzystości

prof. Tomasz Pasierski

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31e ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2008 r. Nr 164, poz.1027 z późn .zm.), w związku z art. 39 ust. 3 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. 2011 r., Nr 122, poz. 696 z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu AOTM-RK-431-23/2014, „Monogen (dieta eliminacyjna) proszek á 400 g we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD”, lipiec 2014 r.

Inne wykorzystane źródła danych, oprócz wskazanych w ww. raporcie:

1. Nie dotyczy



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 232/2014 z dnia 28 lipca 2014 r.

w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego Cycloserine (cycloserinum) we wskazaniach: gruźlica płuc, gruźlica płuc lekooporna i wielolekooporna (MDR) oraz mykobakterioza płuc

Rada Przejrzystości uważa za zasadne wydawanie zgody na refundację produktu leczniczego Cycloserine (cycloserinum) kapsułki á 250 mg, we wskazaniach: gruźlica płuc, gruźlica płuc lekooporna i wielolekooporna (MDR) oraz mykobakterioza płuc.

Uzasadnienie

W gruźlicy płuc wielolekoopornej cykloseryna wchodzi w skład wszystkich zalecanych schematów leczenia. Lek może być również stosowany w II-rzucie gruźlicy płuc i wyjątkowo w mykobakteriozie. Lek ten w skali roku stosowany jest u niewielkiej liczby chorych.



.....
Przewodniczący Rady Przejrzystości

prof. Tomasz Pasierski

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31e ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2008 r. Nr 164, poz.1027 z późn .zm.), w związku z art. 39 ust. 3 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. 2011 r., Nr 122, poz. 696 z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu AOTM-OT-431-21/2014, Cycloserine (Cycloserinum) kapsułki á 250 mg we wskazaniach: gruźlica płuc, gruźlica płuc lekooporna i wielolekooporna (MDR), mykobakterioza płuc, 23 lipca 2014 r.

Inne wykorzystane źródła danych, oprócz wskazanych w ww. raporcie:

1. Nie dotyczy



Opinia Rady Przejrzystości
nr 222/2014 z dnia 28 lipca 2014 r.
o projekcie programu „Program wsparcia leczenia niepłodności
mieszkańców Podkarpacia metodą naprotechnologii
na lata 2014-2016”

Rada Przejrzystości wydaje negatywną opinię o projekcie programu „Program wsparcia leczenia niepłodności mieszkańców Podkarpacia metodą naprotechnologii na lata 2014-2016”.

Uzasadnienie

Projekt programu dotyczy istotnego problemu z perspektywy zdrowia publicznego, sytuacji demograficznej i ekonomicznej zarówno kraju jak i regionu.

Projekt nie zawiera jednakże wszystkich elementów programu zdrowotnego zaproponowanego przez AOTM (ponadto, zawiera szereg uchybień w nawiązaniu do schematu ramowego dobrze zaprojektowanego programu zdrowotnego).

Populacja docelowa nie została precyzyjnie określona. Nie oszacowano potencjalnej grupy docelowej oraz nie określono kryteriów kwalifikacji beneficjentów (w projekcie nie uwzględniono również kampanii informacyjnej).

Projekt częściowo zawiera zakres oczekiwanych efektów (opisanych jako cele), jednakże bez podania mierników efektywności, pozwalających na ocenę realizacji programu, a także stopnia zaspokojenia obranych celów. Projekt pozbawiony jest także oceny jakości udzielanych świadczeń oraz oceny zgłaszalności.

Projekt określa jedynie koszt jednostkowy spotkania edukacyjnego. Nie podano kosztu całkowitego programu, ze względu na brak oszacowania wielkości populacji docelowej oraz wielkości grupy mogącej brać udział w interwencji.

Niektóre proponowane w ramach naprotechnologii interwencje stanowią część dobrej praktyki klinicznej i niektóre z nich są finansowane przez NFZ.



.....
Przewodniczący Rady Przejrzystości

prof. Tomasz Pasierski

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48 ust. 2a ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, z uwzględnieniem „Program wsparcia leczenia niepłodności mieszkańców Podkarpacia metodą naprotechnologii na lata 2014-2016” realizowany przez Województwo Podkarpackie, AOTM-OT-441-105/2014, Warszawa, lipiec 2014.

Inne wykorzystane źródła danych, oprócz wskazanych w ww. raporcie:

1. Nie dotyczy