



Uchwała Rady Przejrzystości nr 195  
z dnia 16 lipca 2012 ws. uzasadnienia  
opinii nr 1/2012 z dnia 13 lutego 2012 r.  
w sprawie utworzenia odrębnych grup limitowych  
dla donosowych postaci farmaceutycznych desmopresyny oraz  
doustnych postaci farmaceutycznych desmopresyny

*Rada Przejrzystości uzupełnia opinię nr 1/2012 z dnia 13 lutego 2012 r. w sprawie utworzenia odrębnych grup limitowych dla donosowych postaci farmaceutycznych desmopresyny oraz doustnych postaci farmaceutycznych desmopresyny poniższym uzasadnieniem.*

**Uzasadnienie**

*Wspólna grupa limitowa dla postaci donosowej i doustnej, z postacią donosową stanowiącą podstawę do wyznaczania limitu finansowania, spowodowała wzrost odpłatności pacjenta dla postaci doustnej. Dawka desmopresyny stosowana u dzieci z moczówką prostą ośrodkową to 5-10 mcg od 1 do 2 razy na dobę. Aerosol występuje w jednorazowej dawce 10 mcg, co niesie ryzyko przewodnienia i innych poważnych powikłań. Zmiana stosowanej terapii z postaci donosowej na aerosol spowoduje konieczność ustalenia właściwej dawki dobowej, co pogarsza jakość życia pacjentów, natomiast w przypadku chorych z nawracającymi nieżytami błony śluzowej czy nieżytami alergicznymi, skuteczność leku jest znacznie mniejsza, co wyklucza jego stosowanie. Ponadto aerosol do nosa powinien być stosowany tylko wówczas, gdy nie jest możliwe stosowanie doustnych postaci farmaceutycznych.*

*Utworzenie odrębnych grup limitowych dla donosowych oraz doustnych postaci farmaceutycznych desmopresyny spowoduje, że podjęzykowe postacie farmaceutyczne desmopresyny nie będą miały wspólnego limitu z postaciami stosowanymi do nosa. Opłata ryczałtowa bez dopłat pacjenta dla postaci doustnej umożliwi dalsze stosowanie terapii z zastosowaniem podjęzykowych postaci desmopresyny, która daje możliwość precyzyjnego dobrania dawki.*



## Przedmiot opinii

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczyło przygotowania opinii Rady Przejrzystości odnośnie utworzenia odrębnych grup limitowych dla: donosowych postaci farmaceutycznych desmopresyny oraz doustnych postaci farmaceutycznych desmopresyny.

Podmiot odpowiedzialny wnioskuje o utworzenie odrębnych grup limitowych i zastąpienie obecnego zapisu „Hormony przysadki i podwzgórza” określeniem „Hormony przysadki i podwzgórza – donosowe postacie farmaceutyczne”. Argumentem przemawiającym za takim rozwiązaniem jest fakt, że u dzieci lek podawany jest w dawce 5-10 mcg 1-2 razy na dobę, a aerozol występuje w jednorazowej dawce 10 mcg. Zatem dzieci obecnie leczone Minirin Melt, wymagające mniejszych dawek desmopresyny, zostaną pozbawione możliwości skutecznego leczenia. Stosowanie u nich dawki 10 mcg niesie ryzyko przewodnienia i idących za tym poważnych powikłań. Dodatkowo podkreślono, że większość pacjentów cierpiących z powodu moczówki prostej ośrodkowej (przysadkowej) przyjmuje podjęzykowo postacie desmopresyny – Minirin Melt 0,06 mg i Minirin Melt 0,12 mg. Ta postać leku nie wymaga popijania i polykania oraz umożliwia precyzyjne dobranie dawki, tak istotne dla pacjentów z tym schorzeniem. Zwiększenie dopłaty do postaci doustnych może oznaczać dla wielu pacjentów konieczność zmiany terapii Minirin Melt na Minirin (aerozol), co pogorszyłoby ich jakość życia. Minirin (aerozol) jako postać podawana donosowo jest nieakceptowany przez wielu pacjentów, a w przypadku chorych z nawracającymi nieżytami błony śluzowej czy nieżytami alergicznymi, skuteczność leku jest znacznie mniejsza, co wyklucza jego stosowanie.

## Opis technologii ujętych w proponowanej grupie limitowej

Desmopresyna to strukturalny analog naturalnego hormonu antydiuretycznego wydzielanego przez tylny płat przysadki mózgowej - argininowazopresyny. Zmiany w budowie chemicznej cząsteczki desmopresyny w porównaniu do argininowazopresyny polegają na dezaminacji cysteiny oraz zastąpieniu L-argininy D-argininą. Wynikiem tego jest wydłużenie działania przeciwdiuretycznego i całkowity brak działania skurczowego w stosowanych klinicznie dawkach.

Minirin (aerozol do nosa) stosowany jest zgodnie z Charakterystyką Produktu Leczniczego we wskazaniach: moczówka prosta ośrodkowa; badanie zdolności zagęszczania moczu przez nerki. W ChPL zamieszczono specjalne ostrzeżenie, że lek powinien być stosowany tylko wówczas, gdy nie jest możliwe stosowanie doustnych postaci farmaceutycznych.

Minirin w postaci liofilizatu doustnego (0,06 mg i 0,12 mg) stosowany jest we wskazaniach: moczówka prosta ośrodkowa; pierwotne izolowane moczenie nocne u pacjentów powyżej 6 lat z prawidłową zdolnością zagęszczania moczu; nokturia u dorosłych związana z nocnym wielomoczem (objętość moczu produkowanego w nocy przekracza pojemność pęcherza moczowego).

Obecnie poziom finansowania przedmiotowych leków regulowany jest przez Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 29 grudnia 2011 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1. stycznia 2012 r. Zgodnie z przytoczonym dokumentem, istnieje aktualnie jedna grupa limitowa (78.0, Hormony przysadki i podwzgórza - desmopressyna), w której znajdują się trzy leki: Minirin (0,01 mg/5 ml, aerozol do nosa), Minirin Melt (0,06 mg, 30 tabl., liofilizat ustny), Minirin Melt (0,12 mg, 30 tabl., liofilizat ustny) finansowane we wskazaniu: moczówka prosta przysadkowa. Lek w postaci aerozolu do nosa stanowi podstawę limitu w tej grupie, w związku z najniższą ceną hurtową za DDD (7,11 zł) oraz obrotem ilościowym znacznie przekraczającym 15%. Ceny hurtowe za DDD dla leków w postaci doustnej są wyższe i wynoszą odpowiednio: 20,78 zł i 20,62 zł. Leki zostały zakwalifikowane do odpłatności ryczałtowej. Z powodu znacznie niższej ceny hurtowej za DDD podstawy limitu, limit finansowania dla leków doustnych jest niski, co w praktyce oznacza, że pacjent musi dopłacić do opakowania Minirin Melt 0,06 mg 47,38 zł, a do Minirin Melt 0,12 mg 84,33 zł. Może to spowodować, że Minirin (aerozol do nosa) będzie lekiem stosowanym w pierwszej kolejności przez pacjentów z moczówką prostą, co

nie jest zgodne z zapisem charakterystyki tego produktu. Dodatkowo, biorąc pod uwagę zapisy Charakterystyki Produktu Leczniczego Minirin (aerozol do nosa) o sposobie dawkowania tego preparatu u dzieci, może to prowadzić do ograniczenia możliwości leczenia dzieci z moczówką prostą.

Przed wejściem w życie aktualnie obowiązującego obwieszczenia, każdy z leków dostępny był dla pacjenta w cenie 3,2 zł. W przypadku utworzenia odrębnych grup limitowych dla preparatu Minirin (postać aerozol do nosa) i Minirin Melt (postać doustna), odpłatność pacjenta za preparaty Minirin Melt 0,12 mg i Minirin Melt 0,06 mg spadnie i wyniesie odpowiednio 3,2 zł i 8,47 zł.

### **Skuteczność kliniczna**

Z uwagi na krótki termin wydania opinii Agencja nie dokonała oceny skuteczności klinicznej, zasięgnięto natomiast opinii ekspertów klinicznych w sprawie zasadności wprowadzenia proponowanego rozwiązania.

Zdaniem eksperta nie jest uzasadnione zróżnicowanie cenowe preparatów donosowych i doustnych we wskazaniu: moczówka prosta przysadkowa. W moczówce prostej przysadkowej u dzieci stosuje się preparaty doustne w dawce ustalonej indywidualnie – do uzyskania pozytywnej odpowiedzi organizmu. Te preparaty powinny być z minimalną dopłatą świadczeniobiorcy. Istotnie, preparat donosowy jest stosowany w moczówce prostej przysadkowej bardzo rzadko. Przewaga preparatu donosowego jest jedynie we wskazaniu: moczenie nocne.

### **Tryb przygotowania opinii**

W piśmie zlecającym wydanie opinii (MZ-PLA-460-12525-40/KKU/12 z 12 stycznia 2012 r.) Minister Zdrowia powołuje się na art. 15 ust. 3 pkt. 1 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych z dnia 12 maja 2011 r. (Dz.U. Nr 122 poz. 696).

Niniejsza opinia wydana została przez Radę Przejrzystości na podstawie art. 31 s ust. 6 pkt. 5 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych z dnia 27 sierpnia 2004 r. (Dz.U. z 2008 r. Nr 164, poz. 1027 z późn. zm.) w oparciu o zestawienie informacji „Przygotowanie opinii Rady Konsultacyjnej odnośnie utworzenia odrębnych grup limitowych dla:

- donosowych postaci farmaceutycznych desmopresyny;
- doustnych postaci farmaceutycznych desmopresyny” nr AOTM-OT-434-2/2012”.

.....  
.....  
[Redacted signature area]

### **Tryb wydania opinii**

Uzasadnienie dodano na prośbę Ministra Zdrowia z dnia 23.05.2012 r., w trybie uzgodnionym z Ministerstwem Zdrowia.