



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 287/2019 z dnia 9 września 2019 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych,
w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku
Sandostatin LAR (oktreotydyd) we wskazaniu: makrogruczolak przysadki
(ICD-10: D43.0)

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Sandostatin LAR (oktreotydyd), proszek i rozpuszczalnik do sporządzania zawiesiny do wstrzykiwań, ampułostrzykawka á 20 mg, we wskazaniu: makrogruczolak przysadki (ICD-10: D43.0), pod warunkiem stosowania u chorych z guzem czynnym hormonalnie, u których leczenie chirurgiczne nie jest możliwe, lub u których zakończyło się ono niepowodzeniem, a dotychczasowe leczenie farmakologiczne nie wykazało zadowalającej skuteczności.

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Przebieg naturalny większości gruczolaków przysadki jest łagodny, z niewielką dynamiką wzrostu. U około 30% chorych poddanych leczeniu operacyjnemu obserwuje się, jednak, odrost guza. W załączniku do zlecenia Ministra Zdrowia zawarte są informacje dotyczące pacjenta, dla którego wnioskowana jest oceniana terapia: jest to chory w wieku 8,5 roku, guz wydziela GH, PRL, ACTH; pacjent był dotychczas leczony bromokryptyną. U takich chorych brak aktywnego leczenia prowadzić może do głębokich zaburzeń endokrynologicznych, progresji miejscowej choroby prowadzącej do utraty wzroku i innych poważnych ubytkowych objawów neurologicznych, a w konsekwencji do śmierci.

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Skuteczność kliniczna i praktyczna stosowania oktreotydydu w omawianym wskazaniu jest dobrze poznana w populacji chorych dorosłych. W przypadku dzieci nie odnaleziono badań w pełni odnoszących się do omawianej sytuacji klinicznej. Jedno badanie (Nozieres 2011) częściowo odnosiło się do omawianej sytuacji: był to opis 7 pacjentów pediatrycznych (wiek 5-17 lat) z gruczolakiem przysadki wydzielającym hormon wzrostu, leczonych oktreotydem lub lanreotydem. Wśród sześciu pacjentów leczonych analogami somatostatyny,



normalizację IGF-1 (insulinopodobnego czynnika wzrostu 1) odnotowano u jednego pacjenta.

Bezpieczeństwo stosowania

Bezpieczeństwo stosowania oktreotydu w populacji pediatrycznej nie zostało zadowalająco poznane. U dorosłych najczęściej występującymi objawami niepożądanymi są biegunka, ból brzucha, nudności i zaparcie. Obserwowana też była kamica żółciowa, hiperglikemia i reakcje w miejscu wstrzyknięcia.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Ze względu na skąpe dane kliniczne relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania jest, w omawianym wskazaniu, trudna do oszacowania.

Konkurencyjność cenowa

Koszt 3-miesięcznej terapii preparatem Sandostatin LAR oszacowany na podstawie Obwieszczenia Ministra Zdrowia z dnia 2019-08-30 to 8 437 zł, koszt rocznej terapii to 33 748 zł.

Wpływ na wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorców

Ze względu na brak danych umożliwiających szczegółowe oszacowanie wielkości populacji docelowej wiarygodne oszacowanie wpływu na wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorców nie jest możliwe.

Alternatywna technologia medyczna, w rozumieniu ustawy o świadczeniach, oraz jej efektywność kliniczna i bezpieczeństwo stosowania

Nie zidentyfikowano alternatywnej technologii mającej wskazanie rejestracyjne do zastosowania w makrogruczolaku przysadki (wydzielający GH, PRL, ACTH) u pacjentów pediatrycznych. Za alternatywę można, tym samym, uznać najlepsze leczenie wspomagające (BSC).

Uwagi Rady:

Rada zwraca uwagę, iż należy rozważyć leczenie neurochirurgiczne w ośrodku referencyjnym, doświadczonym w leczeniu przysadki (np. CZD, Warszawa).

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt. 4 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 1373), z uwzględnieniem opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, nr: OT.422.69.2019 „Sandostatin LAR (oktreotydu) we wskazaniu: makrogruczolak przysadki”. Data ukończenia: 04.09.2019.