



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezisie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 2/2020 z dnia 7 stycznia 2020 roku
w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych,
w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych,
leku Defitelio (defibrotyd) we wskazaniu: zarostowa choroba żył
wątroby (ICD-10: K76.5)

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Defitelio (defibrotyd), roztwór do wstrzykiwań 80 mg/ml we wskazaniu: zarostowa choroba żył wątroby (ICD-10: K76.5).

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Choroba zarostowa żył wątroby to rzadkie, potencjalnie zagrażające życiu, powikłanie występujące najczęściej po przeszczepie krwiotwórczych komórek macierzystych. Opinia dotycząca ratunkowego dostępu do technologii lekowych dotyczy pacjenta pediatrycznego z rozpoznaną ostrą białaczką szpikową po transplantacji allogenicznych komórek krwiotwórczych. Rada nie dysponuje wyczerpującymi informacjami na temat stanu klinicznego pacjenta.

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Zgodnie z Charakterystyką Produktu Leczniczego produkt leczniczy Defitelio jest wskazany do stosowania w leczeniu ciężkiej postaci zarostowej choroby żył, występującej po przeszczepieniu macierzystych komórek krwiotwórczych u dorosłych, a także u młodzieży, dzieci i niemowląt w wieku powyżej 1 miesiąca. Umiarkowanej jakości dowody naukowe potwierdzają skuteczność defibrotynu w leczeniu ciężkiej postaci zarostowej choroby żył wątroby.

W opinii nr 248/2019 z dnia 12 sierpnia 2019 r Rada uznała za niezasadne finansowanie defibrotynu ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, do infuzji, we wskazaniu: profilaktyka choroby zarostowej żył wątroby (VOD) u pacjentów poddawanych przeszczepowi krwiotwórczych komórek macierzystych uznając, że brak jest jednoznacznych dowodów naukowych potwierdzających skuteczność profilaktycznego podawania leku i wskazanie to nie jest uwzględnione w Charakterystyce Produktu Leczniczego. Rada nie dysponuje wyczerpującymi informacjami



na temat stanu klinicznego pacjenta, przy ocenie zasadności założono jednak, że zostały już wyczerpane wszystkie możliwe do zastosowania w tym wskazaniu dostępne technologie medyczne finansowane ze środków publicznych.

Bezpieczeństwo stosowania

U chorych leczonych defibrotym często występowały m.in.: [REDACTED]

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania została pozytywnie oceniona przez EMA na etapie rejestracji. Duże ryzyko zgonu u chorych z ciężką postacią zarostowej choroby żył po transplantacji komórek krwiotwórczych uzasadnia jego stosowanie u pacjentów z tym rozpoznaniem.

Konkurencyjność cenowa

Bezwzględny koszt terapii jest wysoki, jednak dla terapii brak jest komparatora.

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

Brak jest danych pozwalających jednoznacznie określić liczebność populacji docelowej i tym samym wpływ na wydatki płatnika publicznego. Szacunkowe dane wskazują na to, że w populacji pediatrycznej wskazania do stosowania leczniczego defibrotym może mieć poniżej 10 chorych rocznie. W takim przypadku wydatki płatnika publicznego należy określić jako wysokie.

Nieakceptowane wcześniej przez Radę profilaktyczne stosowanie leku, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, może prowadzić do bardzo wysokich obciążeń budżetu płatnika publicznego.

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

Defibrotym jest jedynym lekiem o potwierdzonej skuteczności w leczeniu zarostowej choroby żył po transplantacji komórek krwiotwórczych.

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 późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, nr: OT.422.113.2019, „Defitelio (defibrotym) we wskazaniu: zarostowa choroba żył wątroby (ICD-10: K76.5)”, data ukończenia: 02 stycznia 2020 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców (Gentium Srl).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Gentium Srl 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. z 2016 r., poz. 1764 z późn. zm.) w zw. z art. 11 ust. 4 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2018 r., poz. 419).

Organ dokonujący wyłączenia jawności: Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji.

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Gentium Srl.