



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 351/2020 z dnia 28 grudnia 2020 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych,  
w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych,  
leku Enbrel (etanercept) we wskazaniu: deficyt deaminazy adenozynej  
typu 2 (ICD-10 D84.8)

*Rada Przejrzystości uważa za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Enbrel (etanercept), proszek do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, ampułki, 25 mg, we wskazaniu: deficyt deaminazy adenozynej typu 2 (ICD-10 D84.8), w populacji pediatrycznej.*

#### Uzasadnienie

##### Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

*Niedobór deaminazy adenozynej typu 2 (DADA2) jest ultraradką chorobą autosomalną recesywną wynikającą z mutacji utraty funkcji w ADA2, nazywany genem CECR1 (region chromosomu kociego oka). Jej obraz kliniczny i wiek zachorowania różni się znacznie nawet u powiązanych pacjentów, a najpoważniejsze objawy obejmują m.in.: aplazję szpiku, neutropenię, choroby wątroby i zaburzenia neurologiczne. Rozpatrywany wniosek dotyczy pacjenta pediatrycznego z udarem mózgowym, u którego w wyniku badania genetycznego rozpoznano na poziomie pewnym deficyt deaminazy adenozynej typu 2 (DADA2), uznany za przyczynę przebytego udaru w mechanizmie autozapalenia drobnych naczyń.*

##### Skuteczność kliniczna i praktyczna

*Oceniane wskazanie nie zawiera się we wskazaniu zarejestrowanym. Ocena skuteczności opiera się na opisie pojedynczego przypadku 9,5-letniego chłopca ze zdiagnozowanym DADA2, w którym z powodzeniem stosowano etanercept. Odnalezione wytyczne kliniczne zalecają stosowanie inhibitorów TNF-alfa, do których etanercept należy.*

##### Bezpieczeństwo stosowania

*Antagoniści TNF, w tym etanercept, hamują układ immunologiczny. Ciężkie zakażenia występują u mniej niż 1 na 100 pacjentów leczonych produktem Enbrel i obejmują m.in. zgony oraz zagrażające życiu infekcje i sepsę.*



Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

*Brak dostatecznych danych, aby jednoznacznie ocenić relację korzyści do ryzyka stosowania leku w tak rzadkiej jednostce chorobowej.*

Konkurencyjność cenowa

*Dla ocenianej technologii lekowej nie ma technologii alternatywnej, ale jej koszt stosowania w chorobie ultraradkiej jest akceptowalny.*

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

*Lek nie jest refundowany w chorobach autozapalnych. Niedobór deaminazy adenozykowej typu 2 (DADA2) jednak jest chorobą ultraradką, a koszt stosowania etanerceptu u pojedynczego pacjenta jest względnie niski.*

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

*Dla ocenianej technologii lekowej nie ma technologii alternatywnej.*

Uwagi Rady

*Rada uważa, że powinien być stosowany najtańszy preparat etanerceptu.*

*Stosowanie etanerceptu w wymienionym wskazaniu należy rozpatrywać mając na uwadze ultraradki charakter choroby. Rada wyrażając pozytywną opinię dla etanerceptu zauważa jednocześnie, że czas jego stosowania może być dłuższy od przewidzianego dla trybu RDTL.*

**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 2020 r., poz. 1398), z uwzględnieniem opracowania nr: OT.422.164.2020 „Enbrel (etanercept) we wskazaniu deficyt deaminazy adenozykowej typu 2 (ICD-10 D84.8)”, data ukończenia: 21.12.2020 r.