



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 104/2021 z dnia 23 sierpnia 2021 roku

w sprawie oceny leku Elmiron (pentozanu wielosiarczan sodowy) w ramach programu lekowego „Leczenie zespołu bolesnego pęcherza moczowego z glomerulacjami lub zmianami Hunnera, śródmiąższowe zapalenie pęcherza moczowego (ICD-10 N30.1)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Elmiron (pentozanu wielosiarczan sodowy), kapsułki twarde, 100 mg, 90 kaps. w butelce, kod EAN: 04260078520176, w ramach programu lekowego „Leczenie zespołu bolesnego pęcherza moczowego z glomerulacjami lub zmianami Hunnera, śródmiąższowe zapalenie pęcherza moczowego (ICD-10 N30.1)”, w ramach nowej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie.

Reakcję na leczenie polisiarczanem pentozanu sodu należy ocenić co 3 miesiące. Mechanizm RSS powinien uwzględniać zwrot kosztów leczenia chorych, którzy spełnili 1, 2 lub 3 kryterium wyłączenia z programu lekowego, w ciągu pierwszych 6 miesięcy terapii.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Zespół bolesnego pęcherza moczowego/śródmiąższowe zapalenie pęcherza moczowego (BPS/IC – painful bladder syndrome/IC – interstitial cystitis) należy do przewlekłych schorzeń zapalnych. Termin „śródmiąższowe zapalenie pęcherza moczowego” (IC), określający jednostkę chorobową wchodzącą w skład BPS, został przyporządkowany chorobie o określonych zmianach stwierdzonych w badaniu cystoskopowym (charakterystyczne czerwone glomerulacje lub wrzody Hunnera) i histologicznym. Częstość występowania BPS/IC wynosi 52–500/100 tys. u kobiet w porównaniu z 8–41/100 tys. u mężczyzn, a zapadalność jest szacowana na 1,2/100 tys. Obecnie stosuje się: psychoterapię, dietę, leki przeciwbólowe, amitryptylinę, hydroksyzynę oraz wlewki dopęcherzowe i zabiegi chirurgiczne.

Elmiron podlegał ocenie Agencji w 2018 r. w ramach importu docelowego i uzyskał pozytywną ocenę Rady, jak też Rekomendację Prezesa.



Dowody naukowe

Skuteczność leku względem placebo wykazano w 2 randomizowanych badaniach klinicznych po 3 mies. (Mulholland 1990, Parsons 1993) oraz po 6 mies. w niewielkim i niekompletnym badaniu (Sant 2003). Metaanaliza powyższych badań wykazała statystycznie istotnie wyższą szansę wystąpienia co najmniej umiarkowanej poprawy w ocenie pacjenta po 3-6 mies. (OR = 2,56 (95% CI:1,47;4,48) i ogólnej poprawy w ocenie badacza (OR=3,15 (95% CI: 1,67; 5,93). Wnioskodawca zdecydował o dodatkowym przeprowadzeniu dwóch analiz wrażliwości, w których uwzględnił dwa randomizowane badania kliniczne nie spełniające kryteriów włączenia do analizy w zakresie interwencji oraz populacji (Parsons 1987 oraz Nickel 2015). Metaanaliza 5 badań wykazała znamiennej różnicę na korzyść interwencji wnioskowanej w zakresie ogólnej poprawy w ocenie pacjenta i 2 skalach nasilenia objawów.

Zidentyfikowano też 5 przeglądów systematycznych (Hwang 1997, Dimitrakov 2007, Giannatoni 2012, Sntos 2018 oraz Vanophoven 2019), które wskazują, że zastosowanie polisiarczanu pentozanu sodu w populacji dorosłych pacjentów z zespołem bolesnego pęcherza moczowego przynosi korzyści w leczeniu objawów IC/BPS. Nie stwierdzono występowania ciężkich zdarzeń niepożądanych, ale chorzy wymagają okresowej kontroli okulistycznej.

Problem ekonomiczny

Cena leku jest [redacted] w innych krajach. Oszacowany ICUR z perspektywy NFZ wyniósł 105 620 PLN/QALY. [redacted]

Odnaleziono 5 rekomendacji: 4 pozytywne (NICE 2019, NHS 2019, HAS 2018, Zorginstituut Nederland 2020) oraz 1 negatywną (NCPE 2019). Pozytywne rekomendacje NICE 2019 i NHS 2019 wskazują, iż terapia PPS jest nieefektywna kosztowo w porównaniu z BSC. Irlandzka Agencja nie zarekomendowała objęcia refundacją leku Elmiron we wnioskowanej cenie (NCPE 2019). [redacted]

Główne argumenty decyzji

Elmiron jest skuteczny tylko u części chorych z zespołem bolesnego pęcherza (w otwartym badaniu Hanno 1997 w ciągu 3 miesięcy odstawiło go 59% osób), ale wypełnia niezaspokojoną potrzebę medyczną.

Płatnik publiczny nie powinien płacić za stosowanie leku u chorych, u których jest on nieskuteczny.

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 (Dz. U. z 2021 r., poz. 523), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 1285 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OT.4231.32.2021 „Wniosek o objęcie refundacją leku Elmiron (pentozanu wielosiarczan sodowy) w ramach programu lekowego: »Leczenie zespołu bolesnego pęcherza moczowego z glomerulacjami lub zmianami Hunnera, śródmiąższowe zapalenie pęcherza moczowego (ICD-10 N 30.1)«”. Data ukończenia: 13 sierpnia 2021 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy Norameda UAB.

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Norameda UAB 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: Norameda UAB.