



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 16/2024 z dnia 4 marca 2024 roku
w sprawie oceny leku Ngenla (somatrogonum) w ramach programu
lekowego „Leczenie niskorosłych dzieci z somatotropinową
niedoczynnością przysadki (ICD-10: E23)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktów leczniczych:

- *Ngenla (somatrogonum), roztwór do wstrzykiwań we wstrzykiwaczu, 24 mg, 1 wstrzykiwacz 1,2 ml, GTIN: 05415062388037;*
- *Ngenla (somatrogonum), roztwór do wstrzykiwań we wstrzykiwaczu, 60 mg, 1 wstrzykiwacz 1,2 ml, GTIN: 05415062388044;*

w ramach programu lekowego „Leczenie niskorosłych dzieci z somatotropinową niedoczynnością przysadki (ICD-10: E23)”, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie ich bezpłatnie, pod warunkiem obniżenia kosztów terapii somatrogonem co najmniej do poziomu kosztów terapii somatotropiną.

Rada Przejrzystości, w ślad za uwagami ekspertów klinicznych, zgłasza następujące uwagi do projektu programu lekowego:

- 1. W programie należy uwzględnić możliwość modyfikacji dawkowania produktu, zgodnie z zapisami ChPL, w zależności od stężenia IGF-1.*
- 2. Rada proponuje usunięcie z kryteriów włączenia do programu fragmentu „wykluczenie ciąży i karmienia piersią”.*

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Niedoczynność przysadki to zespół objawów związanych z niedoborem jednego lub kilku hormonów przysadkowych (m. in. niedobór hormonu wzrostu, GHD ang. growth hormone deficiency).

Niedoczynność przysadki może być wynikiem uszkodzenia samej przysadki albo podwzgórza, a znacznie rzadziej jest wyrazem wad wrodzonych lub rozwojowych. Wśród przyczyn niedoczynności przysadki wymieniane są: nowotwory, urazy czaszki i uszkodzenia jatrogenne, zaburzenia naczyniowe, zmiany zapalne i naczyniowe, zaburzenia wrodzone i rozwojowe oraz izolowane niedobory hormonów (w tym hormonu wzrostu – najczęstszy). Obraz kliniczny zależy od wieku, w którym niedoczynność wystąpiła, etiologii i czasu trwania choroby.

Jeżeli niedoczynność przysadki powstaje w życiu płodowym lub w pierwszych latach po urodzeniu, z reguły w pierwszej kolejności ujawnia się upośledzenie czynności komórek somatotropinowych. Jednak dzieci mimo wrodzonego niedoboru GH rodzą się zwykle z prawidłową masą i długością ciała. Im większy niedobór GH, tym większe prawdopodobieństwo hipoglikemii, która występuje częściej, jeżeli niedoborowi GH towarzyszy niedobór ACTH.

Dowody naukowe

Komisja Europejska dnia 14.02.2022 roku wydała decyzję o dopuszczeniu do obrotu somatogonu w leczeniu dzieci i młodzieży w wieku 3 lat i starszych z zaburzeniami wzrostu spowodowanymi niedostatecznym wydzielaniem hormonu wzrostu. Nie odnaleziono wytycznych odnoszących się do stosowania somatogonu. W najnowszych wytycznych opublikowanych w latach 2016-2023: międzynarodowe GRS 2019 i PES 2016 odniesiono się do leczenia niedoborów hormonu wzrostu (ang. growth hormone deficiency, GHD) za pomocą rekombinowanego ludzkiego hormonu wzrostu (ang. recombinant human growth hormone, rhGH) u dzieci i młodzieży. Nie odnaleziono polskich wytycznych klinicznych dot. wskazania.

Wytyczne rekomendują stosowanie rekombinowanego ludzkiego hormonu wzrostu (ang. recombinant human growth hormone, rhGH) w terapii niskorosłości u pacjentów pediatrycznych. Dawka rhGH powinna być ustalana indywidualnie, a początkowa powinna wynosić od 22 do 35 mg/kg/tydzień. W przypadku poważnego GHD, możliwe jest stosowanie niższych dawek początkowych (GRS 2019). Wytyczne sugerują monitorowanie poziomu IGF-1 w surowicy w celu odpowiedzi na terapię i przestrzegania zaleceń.

Problem ekonomiczny

Zgodnie z wynikami analizy podstawowej, wydanie pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych produktu leczniczego Ngenla spowoduje wzrost wydatków płatnika publicznego, niezależnie od zastosowanego RSS.

Stosowanie STG w miejsce STP jest droższe.

W wyniku wyszukiwania odnaleziono 5 rekomendacji pozytywnych (NICE 2023, SMC 2022, NCPE 2022, HAS 2022, BPAC 2022: dodatkowa opcja terapeutyczna, porównywalna do somatropiny skuteczność i bezpieczeństwo oraz rzadsze dawkowanie) oraz 1 rekomendację pozytywną warunkowo (CADTH 2022: pod warunkiem ceny nieprzekraczającej kosztu stosowania najtańszej somatropiny), rekomendacja G-BA z 2022 r. wskazująca na niewymierną dodatkową korzyść dla somatogonu względem komparatorów.

Należy także zwrócić szczególną uwagę, iż somatropina (technologia alternatywna) znalazła się na wykazie produktów leczniczych, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych zagrożonych brakiem dostępności na terytorium Rzeczypospolitej

Polskiej na dzień 12 lutego 2024 r., zgodnie z obwieszczeniem Ministra Zdrowia z dnia 7 lutego 2024 r.

Główne argumenty decyzji

- *Skuteczność nie gorsza niż somatropiny;*
- *Możliwe lepsze stosowanie się do zaleceń przy cotygodniowym schemacie STG, może przyczynić się do poprawy efektów leczenia;*
- *Rzadsze dawkowanie (tj. raz na tydzień) stanowi większy komfort dla pacjentów;*
- *Obecnie stosowane preparaty somatropiny mają niski stopień stosowania się do zaleceń – stosowanie się do zaleceń spada wraz z czasem trwania leczenia;*
- *Zbyt wysokie koszty terapii proponowanej we wniosku.*

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 2023, poz. 826, z późn. zm.), 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. 2024 poz. 146) z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OT.423.1.48.2023 „Wniosek o objęcie refundacją leku Ngenla (somatrogon) w ramach programu lekowego: Leczenie niskorosłych dzieci z somatotropinową niedoczynnością przysadki (ICD-10: E23)”. Data ukończenia: 22 lutego 2024 r.