



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 27/2024 z dnia 2 kwietnia 2024 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku Calcort
(deflazakort) we wskazaniach: zespół nerczycowy,
autoimmunologiczne zapalenie wątroby

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne wydawanie zgód na refundację leku Calcort (deflazakort) we wskazaniach: zespół nerczycowy, autoimmunologiczne zapalenie wątroby.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Zarówno Rada Przejrzystości, jak i Prezes Agencji uznali za niezasadne wydawanie zgód na refundację leku Calcort (deflazakort), tabletki 6 mg, we wskazaniu zespół nerczycowy w opiniach przedstawionych w roku 2013, 2020 i 2023 oraz autoimmunologiczne zapalenie wątroby w 2020 r.

Obecne stanowisko Rady Przejrzystości oparte jest o zaktualizowane dane w zakresie istnienia nowych wytycznych praktyki klinicznej oraz nowych dowodów naukowych dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa ocenianej technologii medycznej.

Zespół nerczycowy (ZN) powstaje w wyniku utraty białka, przede wszystkim albuminy z moczem w ilości przekraczającej możliwości kompensacyjne ustroju. Zwiększone wydalanie białka z moczem spowodowane jest wzmożoną przepuszczalnością błony filtracyjnej kłębuszków nerkowych w wyniku działania różnych czynników patologicznych lub wady ich mikrostruktury. U małych dzieci choroba przyjmuje postać idiopatycznego zespołu nerczycowego wieku dziecięcego, który przebiega z charakterystycznymi objawami klinicznymi i zmianami laboratoryjnymi, ale jego przyczyna nie została wyjaśniona. Autoimmunologiczne zapalenie wątroby (AIH, ang. autoimmune hepatitis) jest przewlekłym, nieustępującym samoistnie, procesem martwiczo-zapalnym tkanki wątrobowej o nieznannej etiologii, zlokalizowanym głównie w okolicy okołowrotnej zrazika, związanym ze zwiększonym stężeniem gamma-globulin w osoczu i obecnością krążących autoprzeciwciał tkankowych.

Dowody naukowe

Wszystkie rekomendacje (południowokoreańskie KASL z 2022 r., francuskie HAS z 2022 r., amerykańskie AASLD z 2019 r.) leczenia autoimmunologicznego zapalenia wątroby oraz rekomendacje dla wskazania zespół nerczycowy (amerykańskie KDOQI z 2023 r.) zalecają zastosowanie w obu jednostkach chorobowych prednizonu/prednizolonu lub ogólnie kortykosteroidów bez wskazywania konkretnej substancji czynnej. W odnalezionych wytycznych brak jest odniesienia do stosowania deflazakortu w analizowanych wskazaniach. W przypadku wytycznych leczenia autoimmunologicznego zapalenia wątroby odnalezionych w poprzednim raporcie Agencji z 2020 r. większość dokumentów nie odniosła się do stosowania deflazakortu w ramach terapii GKS, jedynie brytyjskie wytyczne BSG z 2010 r. wskazują, że „u pacjentów, u których nie uzyskano całkowitej biochemicznej lub histologicznej remisji po zastosowaniu prednizolonu i azatiopryny można również wypróbować cyklosporynę, budezonid, deflazakort, takrolimus lub cyklofosfamid, chociaż ich skuteczność jest słabo udokumentowana (II-3/C2)”. Natomiast w odniesieniu do wytycznych leczenia zespołu nerczycowego odnalezionych na potrzeby oceny Agencji w 2023 r., wszystkie rekomendacje zalecały leczenie dzieci doustnym prednizonem/prednizolonem, zarówno w pierwotnym, jak i nawracającym zespole nerczycowym. Jedynie autorzy wytycznych IPNA 2022 wskazali, że obecnie nie ma wystarczających danych, aby zalecić stosowanie deflazakortu zamiast prednizonu w leczeniu zespołu nerczycowego.

W wyniku wyszukiwania nie odnaleziono nowych dowodów naukowych opublikowanych po dacie ostatnich ocen przeprowadzonych w Agencji.

Problem ekonomiczny

Szacunkowa cena netto sprzedaży produktu leczniczego Calcort (deflazakort), tabletki 6 mg do apteki wynosi 110,36 zł za 100 tabletek, zawierająca marżę hurtową. Lek wydawany jest pacjentom po uiszczeniu opłaty ryczałtowej w wysokości 3,20 zł/opak (art. 6 ust. 6 ustawy o refundacji). W okresie 01.2023-02.2024 wydano zgody na refundację w sumie 8 opakowań po 100 tabletek produktu leczniczego Calcort dla dwóch pacjentów z zespołem nerczycowym oraz 15 opakowań dla jednego pacjenta z autoimmunologicznym zapaleniem wątroby. Kwota, na jaką wydano ww. zgody na refundację wynosi 2 538,28 zł.

Oszacowana kosztochłonność terapii, zależnie od wskazania, wynosi 247,21 zł za miesiąc terapii dawką 40 mg deflazakortu. W analizowanych wskazaniach, wynikających ze zlecenia, koszt miesięczny terapii w zespole nerczycowym wynosi 255-382 zł za cykl terapii (8-12 tygodni), natomiast w przypadku autoimmunologicznego zapalenia wątroby – 600-2000 zł, w zależności od populacji (odpowiednio dzieci i dorośli).

Główne argumenty decyzji

1. *Brak dowodów naukowych wskazujących na wyższą skuteczność i tym samym uzasadniających stosowanie Calcortu (deflazakortu) zamiast innych glikokortykosteroidów we wskazaniu zespół nerczycowy oraz autoimmunologiczne zapalenie wątroby (prednizon/prednizolon, prednizon z azatiopryną).*
2. *Brak wytycznych towarzystw naukowych międzynarodowych i polskich uzasadniających stosowanie Calcortu (deflazakortu) zamiast innych glikokortykosteroidów u chorych z zespołem nerczycowym oraz chorych z autoimmunologicznym zapaleniem wątroby (prednizon/prednizolon, prednizon z azatiopryną).*

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust. 2 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146) oraz w zw. z art. 39 ust. 3 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2023 r., poz. 826 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności dalszego wydawania zgody na refundację nr: OT.4211.3.2024 „Calcort (deflazakort) we wskazaniach: zespół nerczycowy, autoimmunologiczne zapalenie wątroby”, Data ukończenia: 25 marca 2024 r.