



Rekomendacja nr 183/2014

z dnia 4 sierpnia 2014 r.

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych

w sprawie usunięcia świadczenia gwarantowanego obejmującego podanie deferazyroksu w rozpoznaniu zakwalifikowanym do kodu ICD-10 C91.5, rozumianego, jako wchodzącego w skład programu chemioterapii niestandardowej

Prezes Agencji rekomenduje usunięcie z wykazu świadczeń gwarantowanych świadczenia opieki zdrowotnej obejmującego podanie deferazyroksu w rozpoznaniu zakwalifikowanym do kodu ICD-10: C91.5 (białaczka dorosłych z komórek T), rozumianego, jako wchodzącego w skład programu chemioterapii niestandardowej.

Uzasadnienie rekomendacji

Prezes Agencji, przychylając się do stanowiska Rady Przejrzystości, uważa za niezasadne finansowanie świadczenia obejmującego podanie deferazyroksu w rozpoznaniu zakwalifikowanym do kodu ICD-10: C91.5 (białaczka dorosłych z komórek T), realizowanego w ramach „Programu leczenia w ramach świadczenia chemioterapii niestandardowej”.

Nie odnaleziono żadnych badań, rekomendacji klinicznych lub finansowych, które mogłyby wskazywać na zasadność finansowania rozpatrywanej technologii w ocenianym wskazaniu.

Na podstawie odnalezionego piśmiennictwa, a także opinii eksperta białaczka dorosłych z komórek T w Polsce praktycznie nie występuje. Odnaleziono informację wskazującą na wystąpienie w latach 2007-2012 3 niepotwierdzonych przypadków w Polsce. Informacje uzyskane z Narodowego Funduszu Zdrowia wskazują na zastosowanie powyższego leczenia u jednego pacjenta.

Przedmiot wniosku

Wniosek dotyczy usunięcia świadczenia opieki zdrowotnej z wykazu świadczeń gwarantowanych, realizowanych w ramach programu chemioterapii niestandardowej, obejmującego podanie deferazyroksu we wskazaniu ICD-10: C91.5 (białaczka dorosłych z komórek T) na podstawie art. 31e ust. 1 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (tj. Dz. U. z 2008 r., Nr 164, poz. 1027 z późn. zm.).

Problem zdrowotny

ICD-10: C91.5 – białaczka dorosłych z komórek T



Białaczka dorosłych z komórek T (ang. Adult T-Cell Lymphoma/Leukemia, ATLL) to agresywny nowotwór limfoidalny pochodzenia wirusowego. Choroba najczęściej występuje w populacjach, u których stwierdza się endemiczną infekcję HTLV-1 (w Japonii, w krajach basenu morza Karaibskiego i w środkowej Afryce). Odnotowuje się występowanie z częstością 2 : 1000 mężczyzn i 0,5-1,0 : 1000 kobiet seropozytywnych pod względem HTLV-1 (37% > 40 rż.) w południowo-zachodniej Japonii. Średnia wieku w momencie rozpoznania to 58 lat (przedział wieku 20-90 lat). Ryzyko zachorowania w wieku 70 lat wynosi 2,5%. Nieendemiczne przypadki wywodzą się głównie z obszarów endemicznego występowania wirusa HTLV-1 (ang. Human T-Cell Lymphotropic Virus Type 1).

Prowirus HTLV-1 występuje w komórkach chorych na ATLL i wszyscy chorzy na ATLL są seropozytywni wskutek wcześniejszej infekcji HTLV-1. Wskazuje to na związek wirusa z patogenezą choroby. Nie u wszystkich zainfekowanych pacjentów rozwija się ATLL, a długi okres latencji sugeruje, że kolejne zakażenia są niezbędne do transformacji nowotworowej. Opisywane są 4 podtypy kliniczne: ostry, przewlekły, tłący się i chłoniakowy. Ostry podtyp jest najczęstszy (66%), średni czas przeżycia – 6 miesięcy, mimo leczenia. Inne postacie wiążą się z dłuższym przeżyciem, ale często ulegają progresji po kilku miesiącach do formy ostrej. Postać tłąca się jest najłagodniejsza i wiąże się z małą liczbą krążących komórek, zmianami skórnymi i czasami nacieczeniem płuc; przeżycie > 24 miesiące.

Wyniki leczenia ATLL są niesatysfakcjonujące. Krótkotrwałe remisje (6-12 miesięcy) osiąga się po skojarzonej chemioterapii (np. CHOP). Monoterapia deoksykoformycyną jest skuteczna w przypadkach nawrotowych i opornych. Chorzy z ostrą lub chłoniakową ATLL mają średni czas przeżycia odpowiednio 6 i 10 miesięcy. Pacjenci umierają głównie z powodu infekcji oportunistycznych.

Opis wnioskowanego świadczenia

Deferazyroks jest czynnym lekiem chelatującym działającym po podaniu doustnym, o działaniu wysoce selektywnym w stosunku do żelaza (III). Jest trójwartościowym ligandem, wiążącym żelazo z dużym powinowactwem, w stosunku 2:1. Deferazyroks sprzyja wydalaniu żelaza, głównie z kałem. Deferazyroks charakteryzuje się małym powinowactwem do cynku i miedzi, i nie powoduje stałego zmniejszania stężeń tych metali w surowicy.

Alternatywna technologia medyczna

Z uwzględnieniem mechanizmu działania i zastosowania deferazyroksu, jako chelatora żelaza w stanach nadmiernego obciążenia żelazem, za komparatory można uznać dostępne (ale nieobecne na wykazie leków refundowanych) na polskim rynku produkty lecznicze zawierające deferoksaminę (postać farmaceutyczna: proszek do sporządzania roztworu do wstrzykiwań) i deferypron (postać farmaceutyczna: tabletki powlekane). Ograniczeniem zastosowania tych produktów w przedmiotowym wskazaniu jest zakres wskazań rejestracyjnych.

Skuteczność kliniczna

Nie odnaleziono opracowań wtórnych ani badań pierwotnych dotyczących stosowania deferazyroksu w ocenianym rozpoznaniu.

Bezpieczeństwo stosowania

Do najczęstszych działań niepożądanych zgłaszanych podczas przewlekłego leczenia produktem leczniczym Exjade u dorosłych i dzieci należą zaburzenia żołądkowo-jelitowe u około 26% pacjentów (głównie nudności, wymioty, biegunka lub ból brzucha) oraz wysypka skórna u około 7% pacjentów. ChPL, jako specjalne ostrzeżenia i środki ostrożności dotyczące stosowania wymienia zaburzenia czynności nerek i wątroby.

Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

Ze względu na brak danych niemożliwe było przeprowadzenia wiarygodnej analizy ekonomicznej dla stosowania deferyzyroksu w białaczce dorosłych z komórek T.

Wpływ na budżet płatnika publicznego

Ze względu na brak danych niemożliwe było przeprowadzenie wiarygodnej analizy wpływu na budżet płatnika publicznego.

Na podstawie danych NFZ można stwierdzić, że wydatki związane z refundacją deferyzyroksu w ramach „Programu leczenia w ramach świadczenia chemioterapii niestandardowej w latach 2010-2014” wyniosły 23 962,20 PLN, a leczeniem objęty był jeden pacjent (wydano jedną zgodę w 2014 r.).

Omówienie rekomendacji wydawanych w innych krajach w odniesieniu do ocenianej technologii

Odnaleziono 5 rekomendacji klinicznych (European Society for Medical Oncology (ESMO) 2012; British Committee for Standards in Haematology (BSCH) 2012; East Midlands Cancer Network Guidelines (EMCN) 2013; Polskie Towarzystwo Onkologii Klinicznej (PTOK) 2013; National Comprehensive Cancer Network (NCCN) 2014) dotyczących leczenia białaczki dorosłych z komórek T. Żadna z odnalezionych rekomendacji klinicznych nie wymienia deferyzyroksu jako opcji terapeutycznej w leczeniu białaczki dorosłych z komórek T.

Odnaleziono 12 rekomendacji refundacyjnych (Haute Autorité de Santé (HAS) 2006; Scottish Medicines Consortium (SMC) 2013, 2007; Pharmaceutical Benefits Advisory Committee (PBAC) 2006; All Wales Medicines Strategy Group (AWMSG) 2013, 2008; Greater Manchester Medicines Management Group (GMMMG) 2011; Midlands Therapeutics Review and Advisory Committee (MTRAC) 2008; East Lancashire Medicines Management Board (ELMMB) 2012; North of England Cancer Drug Approvals Group (NECDAG) 2009; North East Treatment Advisory Group (NETAG) 2010; Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health (CADTH) 2007; Pharmacology and Therapeutics Advisory Committee (PTAC) 2010; Ontario Ministry of Health and Long-Term Care (CED) 2010, 2008), dotyczących finansowania ocenianej technologii. Żadna z odnalezionych rekomendacji refundacyjnych nie odnosi się bezpośrednio do finansowania deferyzyroksu u pacjentów z rozpoznaniem białaczki dorosłych z komórek T. Odnalezione rekomendacje odnoszą się do finansowania deferyzyroksu w populacji pacjentów z talasemią beta, zespołami mielodysplastycznymi (MDS) i innymi niedokrwistościami oraz przewlekłym obciążeniem żelazem spowodowanym transfuzjami krwi.

Podstawa przygotowania rekomendacji

Rekomendacja została przygotowana na podstawie zlecenia z dnia 08.07.2014 r. Ministra Zdrowia (znak pisma: MZ-PLA-460-19199-120/DJ/14), w sprawie przygotowania rekomendacji Prezesa odnośnie usunięcia świadczenia gwarantowanego obejmującego podanie deferyzyroksu w rozpoznaniu zakwalifikowanym do kodu ICD-10: C91.5, rozumianego jako wchodzącego w skład programu chemioterapii niestandardowej wraz z jednoczesnym określeniem maksymalnego akceptowalnego poziomu finansowania ze środków publicznych, na podstawie art. 31e ust. 1 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (tj. Dz. U. z 2008 r., Nr 164, poz. 1027 z późn. zm.), po uzyskaniu Stanowiska Rady Przejrzystości nr 233/2014 z dnia 4 sierpnia 2014 r. w sprawie usunięcia świadczenia obejmującego podawanie deferyzyroksu w rozpoznaniu zakwalifikowanym do kodu ICD-10: C91.5, realizowanego w ramach „Programu leczenia w ramach świadczenia chemioterapii niestandardowej”

Piśmiennictwo

1. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 233/2014 z dnia 4 sierpnia 2014 r. w sprawie usunięcia świadczenia obejmującego podawanie deferyzyroksu w rozpoznaniu zakwalifikowanym do kodu ICD-10: C91.5, realizowanego w ramach „Programu leczenia w ramach świadczenia chemioterapii niestandardowej”

2. Raport ws. oceny świadczenia opieki zdrowotnej nr: AOTM-OT-431-24/2014 Deferazyroks we wskazaniu: białaczka dorosłych z komórek T (C91.5) - Program leczenia w ramach świadczenia chemioterapii niestandardowej