



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 21/2016 z dnia 15 lutego 2016 roku
w sprawie zasadności kwalifikacji świadczenia opieki zdrowotnej
„Stosowanie preparatu limfocytów TREGS u pacjentów z nowo
rozpoznaną cukrzycą typu 1 (programów zdrowotnych)” jako
świadczenia gwarantowanego

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „Stosowanie preparatu limfocytów TREGS u pacjentów z nowo rozpoznaną cukrzycą typu 1 (programów zdrowotnych)” jako świadczenia gwarantowanego.

Uzasadnienie

Cukrzyca typu 1 jest schorzeniem wywołanym przez nieodwracalne uszkodzenie komórek β trzustki (najczęściej na podłożu autoimmunologicznym). Leczenie cukrzycy typu 1 opiera się na suplementacji insuliny, jednakże terapia ta nie ma wpływu na przebieg reakcji immunologicznej będącej przyczyną choroby. Stosowanie preparatu limfocytów regulatorowych Tregs u pacjentów z cukrzycą typu 1 jest nowatorską technologią, która w swoich założeniach ma wyhamowanie patologicznej reakcji immunologicznej, zmniejszenie zapotrzebowania na insulinę a także zachowanie funkcji wydzielniczej trzustki.

Skuteczność kliniczną wnioskowanej technologii oceniano w pojedynczym badaniu eksperymentalnym TregVac trwającym 3 lata, u pacjentów z cukrzycą typu 1. W badaniu tym wykazano, że stosowanie limfocytów Tregs istotnie statystycznie ($p < 0.02$) obniża zapotrzebowanie na insulinę, może także wiązać się z osiągnięciem stanu remisji, rozumianej jako przyjmowanie insuliny w łącznej dawce dobowej poniżej $< 0,5$ IU/kg m.c. Zaobserwowano również istotne różnice poziomu peptydu C w odniesieniu do grupy kontrolnej ($p < 0.01$). Wpływ na poziom HbA1c po 12 miesiącach nie był istotny statystycznie, za wyjątkiem porównania między grupą leczoną która otrzymała 2 dawki preparatu a grupą kontrolną ($p = 0.01$). Stosowanie limfocytów Tregs nie wiązało się z wystąpieniem ciężkich zdarzeń niepożądanych.



Pomimo obiecujących wyników wstępnych stosowania wnioskowanej technologii w cukrzycy typu 1, na obecnym etapie badań nie jest możliwe oszacowanie jej rzeczywistej wartości klinicznej. Nie przeprowadzono odpowiednio kontrolowanych badań 3 fazy (randomizowanych i zaślepionych). Ponadto, dotychczasowa liczba chorych włączonych do badania była bardzo niska (łącznie 22 osoby). W związku z faktem, iż dostępne dane kliniczne są bardzo ograniczone nie jest także możliwe wiarygodne oszacowanie stosunku kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych. Trudny do oceny jest także wpływ technologii na budżet płatnika publicznego z powodu znacznych rozbieżności w oszacowaniu liczebności grupy docelowej (od 100 do 375 osób rocznie). W wariancie maksymalnym roczny koszt programu może sięgać nawet 60 mln PLN rocznie.

Wnioskowana technologia nie jest wymieniana wśród rekomendowanych metod leczenia cukrzycy typu 1 w międzynarodowych (NICE 2015; ADA 2015) i krajowych (PTD 2015) wytycznych klinicznych. Podsumowując Rada Przejrzystości stoi na stanowisku, że finansowanie wnioskowanej technologii na obecnym etapie badań należy uznać za przedwczesne.

.....
Przewodniczący Rady Przejrzystości
prof. Tomasz Pasiński

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31c ust. 6 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 roku o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2015 r. poz. 581), z uwzględnieniem opracowanie na potrzeby Rady Przejrzystości/Prezesa Agencji nr AOTMiT-OT-430-12/2015 „Stosowanie preparatu limfocytów Tregs u pacjentów z nowo rozpoznaną cukrzycą typu 1” Data ukończenia: 11.02.2016.