



---

## OPINIA RADY KONSULTACYJNEJ

---

Na posiedzeniu w dniu 21 lutego 2011 r. Rada Konsultacyjna omawiała temat czynników omijających (zespół czynników krzepnięcia przeciw inhibitorowi czynnika VIII i rekombinowany czynnik krzepnięcia VIIa) stosowanych u dzieci z hemofilią A lub B, powikłaną obecnością inhibitora. Na podstawie raportu nr AOTM-OT-440 „Zespół czynników krzepnięcia przeciw inhibitorowi czynnika VIII (koncentrat aktywowanych czynników zespołu protrombiny) i rekombinowany czynnik krzepnięcia VIIa (eptakog alfa, aktywowany). Dzieci z hemofilią A lub B, powikłaną obecnością inhibitora” Radzie przedstawiono dane dotyczące porównania efektywności klinicznej i kosztowej czynników omijających w leczeniu doraźnym oraz jako osłona przy zakładaniu portów naczyniowych, w celu odpowiedzi na następujące pytania Ministra Zdrowia (z pisma NCK-2280/S/2008 z 31.12.2008 r.):

- Jeżeli wskazane jest wyłącznie leczenie doraźne, to czy przy użyciu rekombinowanego czynnika VIIa (NovoSeven®) czy koncentratu aktywowanego zespołu protrombiny (Feiba®) (kryteria stosowania, właściwości, etc.),
- Jeżeli wskazane jest przeprowadzenie ITI, to przy osłonie produktu leczniczego NovoSeven® czy Feiba® (osłona przy zakładaniu vascuport'ów)?

Rada przyjęła Uchwałę nr 17/3/2011 z dnia 21 lutego 2011 roku o treści:

**W odpowiedzi na pytania Ministra Zdrowia przekazane pismem znak NCK-2280/S/2008 z dnia 31.12.2008 r., dotyczące m.in. efektywności kosztowej leczenia doraźnego i zakładania vascuportów w terapii koncentratami czynników krzepnięcia VIII i IX dzieci z hemofilią A i B, u których stwierdzono obecność inhibitora, działając na podstawie zlecenia Prezesa Agencji z dnia 11.01.2010 r., Rada Konsultacyjna uznaje, że w obydwu wskazaniach należy refundować obydwa produkty.**

### Uzasadnienie:

Zdaniem Rady, przeprowadzone analizy nie pozwalają na stwierdzenie, że którykolwiek z ocenianych produktów jest skuteczniejszy lub bardziej opłacalny kosztowo.

Dodatkowe pytania do Rady Konsultacyjnej były następujące:

- Czy celowe jest zastosowanie ITI czy wyłącznie doraźne leczenie krwawień czynnikami omijającymi inhibitor?
- Czy w dostępnym piśmiennictwie można odnaleźć dane dotyczące sytuacji klinicznej pacjentów z hemofilią A lub B powikłaną inhibitorem leczonych wyłącznie doraźnie?

Poniżej przytoczono odpowiedzi Rady Konsultacyjnej sformułowane podczas posiedzeń w dniach 08.12.2008 oraz 02.02.2009 r.



- Indukcja immunotolerancji metodą „low-dose”, rozpoczęta przed 6-7 rokiem życia, jest tańsza od leczenia doraźnego preparatami omijającymi i jest zarazem najbardziej opłacalną terapią w horyzoncie do 18 roku życia. Wcześniejsze rozpoczęcie terapii oraz wydłużenie horyzontu czasowego analizy poza 18 rok życia wiąże się z rosnącymi oszczędnościami płatnika, w porównaniu do leczenia doraźnego preparatami omijającymi.
- W porównaniu do pacjentów bez inhibitora istnieją przesłanki na gorszą prognozę przeżycia oraz niższą jakość życia pacjentów z inhibitorem. Szczegółowe dane na ten temat mógłby dostarczyć przegląd systematyczny.

Rada uznaje, że powyższa opinia, wraz z odpowiedziami na dodatkowe pytania, sformułowanymi podczas posiedzeń w dniach 08.12.2008 oraz 02.02.2009 r., wyczerpują postępowanie w kwestii zlecenia Ministra Zdrowia z pisma NCK-2280/S/2008 z dnia 31.12.2008 r.

Prof. dr hab. n. med. Tomasz Pasierski  
Przewodniczący Rady Konsultacyjnej