



## Rekomendacja nr 81/2011

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych  
z dnia 7 listopada 2011 r.

**w sprawie usunięcia z wykazu świadczeń gwarantowanych  
albo zmiany poziomu lub sposobu finansowania świadczenia opieki  
zdrowotnej „leczenie akromegalii przy wykorzystaniu produktów  
lecniczych zawierających substancję czynną octreotidum  
(Sandostatin<sup>®</sup>, Sandostatin Lar<sup>®</sup>)”**

**Prezes Agencji nie rekomenduje** usunięcia z wykazu świadczeń gwarantowanych, ani zmiany poziomu lub sposobu finansowania świadczenia opieki zdrowotnej „leczenie akromegalii przy wykorzystaniu produktów leczniczych zawierających substancję czynną octreotidum (Sandostatin<sup>®</sup>, Sandostatin Lar<sup>®</sup>)”.

### Uzasadnienie rekomendacji

Prezes Agencji, zgodnie ze stanowiskiem<sup>1</sup> Rady Konsultacyjnej, uważa za zasadne utrzymanie dotychczasowego stanu finansowania ze środków publicznych świadczenia opieki zdrowotnej „leczenie akromegalii przy wykorzystaniu produktów leczniczych zawierających substancję czynną octreotidum (Sandostatin<sup>®</sup>, Sandostatin Lar<sup>®</sup>)”.

Wyniki zaprezentowanych dowodów naukowych (pomimo zidentyfikowania pewnych uchybień w metodologii) jednoznacznie potwierdzają skuteczność lanreotydu w leczeniu akromegalii. Wykazano, że oktreotydu jest lekiem o podobnej efektywności i bezpieczeństwie jak lanreotydu.

Utrzymanie finansowania oktreotydu w schorzeniu rzadkim, jakim jest akromegalia, na dotychczasowych zasadach, pozwoli uniknąć konsekwencji klinicznych występowania i leczenia powikłań akromegalii oraz skutecznie wpłynie na wydłużenie życia pacjentów i poprawi jego jakość.

### Problem zdrowotny

Akromegalia to zaburzenie hormonalne, spowodowane nadmiernym wydzielaniem hormonu wzrostu (GH, somatotropiny) głównie przez gruczolak przysadki, wywodzący się z komórek somatotropowych. Nadmierne produkowanie GH (w <1% przypadków) może być także wynikiem pobudzenia przysadki przez somatoliberynę ektopowo wydzielaną przez guz neuroendokryny (rakowiak) oskrzela, przewodu pokarmowego lub trzustki. Nadmierne wydzielanie GH prowadzi do zwiększonej syntezy w wątrobie i tkanek obwodowych somatomedyn, głównie somatomedyny C (insulinopodobnego czynnika wzrostowego 1 – IGF-1), która pobudza układy enzymatyczne komórek stymulując ich podziały kariokinetyczne warunkujące rozrost tkanek miękkich i kości.<sup>2</sup>

W chwili rozpoznania 80% gruczolaków somatotropowych to makrogruczolaki, a ponad 70% z nich to guzy o d >2 cm. Mogą one wykazywać powolny wzrost (najczęściej u osób po 50-tym roku życia) lub być bardziej agresywne (najczęściej u młodszych osób).<sup>2</sup>



Akromegalia jest chorobą rzadką o częstości występowania 50-70/mln i zachorowalności 4/mln rocznie. W Polsce na akromegalię choruje ok. 2 000 osób.<sup>2</sup>

Konsekwencje kliniczne akromegalii wynikają zarówno z nadmiernego wydzielania somatotropiny, jak i z objawów uciskowych powodowanych przez sam nowotwór. Objawy choroby związane są z ekspansją gruczolaka przysadki (umiarkowana szybkość wzrastania) oraz uciskiem na skrzyżowanie nerwów wzrokowych i pojawiają się po kilku latach trwania choroby.<sup>2</sup>

Ze względu na długi okres czasu jaki z reguły upływa od pierwszych objawów do rozpoznania akromegalii (według różnych źródeł: 7 lat lub średnio 8,8 lat) i podjęcia skutecznego leczenia, chorzy narażeni są na długotrwałe oddziaływanie wysokich stężeń czynników wzrostowych – m.in. IGF-1, co jest przyczyną pojawienia się zmian, które po latach prowadzą do śmierci. Osoby z nieleczoną akromegalią mają krótszą średnio o 10 lat przewidywaną długość życia, a śmiertelność z powodu chorób układu sercowo-naczyniowego, oddechowego i nowotworów jest 2- 4 razy większa niż w populacji ogólnej.<sup>2</sup>

Leczenie akromegalii powinno być dobierane indywidualnie przez doświadczony zespół specjalistów, po dokładnej ocenie ryzyka oraz korzyści wynikających z postępowania.<sup>2</sup>

Leczenie ma na celu zmniejszenie umieralności związanej z podwyższonymi stężeniami GH i IGF-1. U chorych na akromegalię stosuje się:

1) leczenie operacyjne, metodę z wyboru, polegającą na usunięciu guza przez zatokę klinową, która prowadzi do całkowitego wyleczenia (ocena skuteczności leczenia po 3-6 miesiącach). W wyspecjalizowanych ośrodkach skuteczność tego rodzaju leczenia waha się od 80% (w przypadku mikrogruczolaków od <1 cm) do <50% (dla makrogruczolaków o d >1 cm).

2) leczenie farmakologiczne, analogi somatostatyny o przedłużonym działaniu: oktreotyd lub lanreotyd stosowane:

- przed usunięciem makrogruczolaka, zwłaszcza naciekającego otoczenie (w większości przypadków uzyskuje się zmniejszenie, a w ok. 50% normalizację GH, zmniejszenie guza oraz zmianę jego konsystencji),

- w przypadku braku zgody pacjenta lub przeciwwskazań do operacji, bądź małego prawdopodobieństwa skuteczności zabiegu (w celu utrzymania stężenia GH w surowicy <117 pmol/l [2,5 µg/l] oraz zmniejszenia stężenia IGF-1 do normy dla płci i wieku). W przypadku nieskuteczności analogów somatostatyny należy dodatkowo zastosować lek dopaminergiczny, antagonistę receptora GH (pegwisomant), przeprowadzić reoperację lub rozważyć radioterapię.

3) radioterapia, stosowana w przypadku nieskutecznego leczenia operacyjnego i farmakologicznego. Normalizacja stężenia GH następuje po kilku, a nawet po 10-15 latach od zakończenia tego rodzaju terapii, dlatego do tego czasu konieczne jest leczenie analogami somatostatyny.

Według informacji przedstawionych przez podmiot odpowiedzialny- wyniki badania ankietowego przeprowadzonego u 5 ekspertów klinicznych-liczba chorych z akromegalią leczonych analogami somatostatyny w Polsce wynosi 575 (średnia) osób, według odnalezionych publikacji to 715 pacjentów.<sup>2</sup>

### **Aktualnie obowiązująca praktyka kliniczna**

Polskie Towarzystwo Endokrynologiczne (PTE, 2007) wskazuje, że w leczeniu akromegalii analogi somatostatyny o przedłużonym działaniu mogą być podawane przed leczeniem operacyjnym, przewlekłe w przypadku nieskutecznej operacji, jak też wtedy, gdy leczenie operacyjne nie jest możliwe (przeciwwskazania, brak zgody pacjenta na leczenie chirurgiczne).

Leczenie analogami somatostatyny w akromegalii prowadzi do normalizacji wydzielania GH u 50-60%, IGF-1 u 60-70%, zmniejszenia wielkości guza u 20-80% leczonych, zmniejszenia nasilenia zaburzeń metabolicznych oraz obniżenia zagrożenia zgonem.

Operacyjne zmniejszenie wielkości guza (niecałkowita resekcja) poprawia skuteczność późniejszego leczenia analogami somatostatyny.

Przedoperacyjne zastosowanie analogów somatostatyny zmniejsza wydzielania GH i IGF-1, a tym samym obniża nasilenie zaburzeń metabolicznych, których obecność zwiększa częstość powikłań i nasila ryzyko operacyjne. Ponadto zmniejsza wielkość guza i upłynnia jego konsystencję, ułatwiając

postępowanie neurochirurgiczne; zmniejsza obrzęk tkanek miękkich i skłonność do bezdechu śródsewnego, co ma znaczenie przy intubacji chorych i w opiece okołoperacyjnej. Jest to szczególnie istotne u chorych z zastoinową niewydolnością serca, w przebiegu kardiomiopatii akromegalicznej, ciężkiego bezdechu oraz przy kłopotach z intubacją lub w przypadku zaburzeń oddechowych.

Przed leczeniem operacyjnym proponuje się podawanie domięśniowo analogu somatostatyny o przedłużonym działaniu (oktreotyd Lar w dawce 20 mg, a następnie 30 mg lub odpowiadające dawki lanreotyd Autogel 90/120 mg co 4 tygodnie) w celu normalizacji lub możliwie maksymalnego obniżenia stężeń GH i IGF-1. Czas leczenia w przypadku mikrogruczolaków wynosiłby  $\geq 3$  miesiące, a w przypadku makrogruczolaków  $\geq 6$  miesięcy.<sup>2</sup>

### Opis wnioskowanego świadczenia

Produkt leczniczy Sandostatin® jest przeznaczony do:

- leczenia objawowego i w celu zmniejszenia stężenia GH i IGF-1 w osoczu pacjentów z akromegalią, u których leczenie chirurgiczne lub radioterapia okazały się niewystarczające lub nieskuteczne. Stosowanie preparatu Sandostatin zaleca się również w leczeniu chorych z akromegalią u których leczenie operacyjne jest przeciwwskazane bądź u pacjentów odmawiających poddania się takiemu leczeniu lub będących w okresie przejściowym, przed wystąpieniem pełnych efektów radioterapii;
- łagodzenia objawów spowodowanych obecnością hormonalnie czynnych guzów żołądka, jelit i trzustki (Sandostatin nie jest lekiem przeciwnowotworowym i nie powoduje wyleczenia u tych chorych);
- kontroli nie poddających się leczeniu biegunek u chorych na AIDS;
- zapobiegania powikłaniom po operacjach trzustki;
- nagłego postępowania w celu zahamowania krwawień lub zapobiegania nawrotom krwawień z żyłaków przełyku w przebiegu marskości wątroby.<sup>3</sup>

Produkt leczniczy Sandostatin® LAR® jest przeznaczony do:

- leczenia pacjentów z akromegalią, których stan jest zadowalająco kontrolowany leczeniem preparatem Sandostatin podawanym podskórnym, u których leczenie chirurgiczne lub radioterapia okazały się niewystarczające lub nieskuteczne, lub będących w okresie przejściowym, przed wystąpieniem całkowitego wyniku działania radioterapii;
- leczenia objawów u pacjentów z hormonalnie czynnymi guzami żołądka, jelit i trzustki, którzy zadowalająco reagują na leczenie preparatem Sandostatin podawanym podskórnym.<sup>3</sup>

Oktreotyd jest syntetycznym oktapeptydem, pochodną naturalnie występującej somatostatyny, o podobnych właściwościach farmakologicznych, ale znacząco dłuższym okresie działania. Hamuje on patologicznie zwiększone wydzielanie hormonu wzrostu (GH) oraz peptydów i serotoniny, uwalnianych przez gruczoły wydzielania wewnętrznego żołądka, jelit i trzustki (GEP).<sup>3</sup>

U pacjentów z akromegalią oktreotyd obniża stężenie H i IGF-1 e osoczu. U około 90% pacjentów uzyskuje się obniżenie stężenia GH o 50% i więcej. U około 50% leczonych pacjentów obserwuje się obniżenie stężenia GH w surowicy poniżej 5 ng/ml. U większości pacjentów znacząco zmniejsza nasilenie objawów chorobowych, takich jak: bóle głowy, obrzęk skóry i tkanek miękkich, nadmierne pocenie się, bóle stawów, parestezje.<sup>3</sup>

W 2009 roku COMP przy EMA uznała oktreotyd za „produkt sierocy” w leczeniu pacjentów z akromegalią.<sup>2</sup>

Zlecenie Ministerstwa Zdrowia dotyczy świadczenia opieki zdrowotnej „leczenie akromegalii przy wykorzystaniu produktów leczniczych zawierających substancję czynną oktreotidum”.<sup>2</sup>

W Polsce produkt leczniczy Sandostatin® i Sandostatin Lar® (oktreotyd) znajduje się na wykazie leków i wyrobów medycznych, wydawanych po wniesieniu opłaty ryczałtowej, ze względu na choroby, o których mowa w § 1 Rozporządzenia Ministra Zdrowia z dnia 22 grudnia 2010 r., w tym przypadku – akromegalią.<sup>2</sup>

Obecnie jest również finansowany ze środków publicznych w ramach katalogu substancji czynnych stosowanych w terapii nowotworów z rozpoznaniem: nowotwór złośliwy żołądka nowotwór złośliwy jelita cienkiego, nowotwór złośliwy jelita grubego, nowotwór złośliwy zgięcia esiczo-odbytniczego,

nowotwór złośliwy odbytnicy, nowotwór złośliwy trzustki, nowotwór złośliwy innych i niedokładnie określonych narządów trawiennych, nowotwór złośliwy oskrzela i płuca, nowotwór złośliwy innych gruczołów wydzielania wewnętrznego i struktur pokrewnych, nowotwór złośliwy bez określenia jego umiejscowienia, inne zaburzenia endokrynologiczne.<sup>2</sup>

W Polsce dopuszczono do obrotu także inne produkty lecznicze oktreotydu: Ocrin® oraz Siroctid®. W chwili obecnej leki te nie znajdują się na wykazach leków refundowanych w Polsce.<sup>2</sup>

### **Efektywność kliniczna**

W wyniku przeprowadzonego przez autorów analiz podmiotu odpowiedzialnego wyszukiwania w medycznych bazach danych, do analizy skuteczności i bezpieczeństwa włączono: 2 badania spełniające kryteria przeglądu systematycznego dla oceny skuteczności lub bezpieczeństwa stosowania oktreotydu u chorych na akromegalię; 3 badania z randomizacją (RCT) porównujące oktreotydy z placebo; 2 RCT porównujące OCT LAR z LAN PR; 1 badanie porównujące OCT LAR z LAN Autogel.<sup>2</sup>

Autorzy analiz podmiotu odpowiedzialnego przeprowadzili dodatkową ocenę skuteczności klinicznej i bezpieczeństwa długo działającej postaci oktreotydu w oparciu o publikacje badań obserwacyjnych. Włączono do niej 23 publikacje. W ramach wyszukiwania badań dotyczących efektywności praktycznej odnaleziono 3 publikacje spełniające kryteria włączenia (badania pragmatyczne, fazy IV lub rejestry chorych oceniające pacjentów z akromegalią, u których interwencją stanowił oktreotydy krótko i długo działający).<sup>2</sup>

Kompletność zaprezentowanych dowodów naukowych, poziom wiarygodności oraz zgodność z wytycznymi AOTM nakazuje ostrożność odnośnie wnioskowania na ich podstawie, należy mieć jednak na uwadze dostępność i ilość publikacji naukowych, jaka generalnie dotyczy chorób rzadkich.<sup>2</sup>

#### **Porównanie OCT vs PLC**

Zastosowanie oktreotydu krótko działającego w porównaniu z placebo prowadziło do znamiennego zmniejszenia stężenia hormonu wzrostu (GH) i insulinopodobnego czynnika wzrostu typu 1 (IGF-1). Różnice pomiędzy grupami pacjentów przyjmujących OCT a PLC po 2 tygodniach leczenia, wyniosły w badaniu Ezzat 1992: -29 µg/l (brak oceny istotności statystycznej w badaniu), natomiast w badaniu Fredstorp 1990 różnica wyniosła: -17 µg/l (wynik znamieny statystycznie ( $p < 0,05$ )). W przypadku badania Hansen 1994 po 2 tygodniach leczenia również obserwowano zmniejszenie stężenia GH zarówno w grupie OCT, jak i PLC. Różnica wyników w obu tych grupach wyniosła -10,5 µg/l (brak oceny istotności statystycznej w badaniu).

Po 4-tygodniowym okresie podawania OCT w badaniu Ezzat 1992 różnica pomiędzy grupami OCT vs PLC wyniosła: -29 µg/l (brak wystarczających danych uniemożliwił ocenę istotności statystycznej tych różnic), natomiast w badaniu Hansen 1994 różnica pomiędzy grupami OCT vs PLC wyniosła -15,7 µg/l (95% CI: -26,8; -4,6) była znamienna.

W grupie pacjentów otrzymujących OCT odsetek pacjentów z normalizacją stężenia IGF-1, odsetek chorych ze zmniejszeniem czynnika IGF-1 >20% oraz odsetek chorych ze zmniejszeniem GH >50% był istotnie statystycznie wyższy w porównaniu z grupą przyjmującą PLC.<sup>2</sup>

#### **Porównanie OCT LAR vs LAN PR**

Zmniejszenie stężenia GH w przypadku badania Chanson 2000 zaobserwowano zarówno w przypadku leczenia chorych OCT LAR, jak i LAN PR: -1,3 vs -0,5 µg/l (średnia zmiana od wartości wyjściowej), a różnica zmian pomiędzy grupami chorych leczonych obydwoma lekami wyniosła -0,8 (z powodu braku danych nie była możliwa statystyczna ocena różnic). W przypadku „spulowanych” wyników z obu grup stężenie GH wyniosło 3,7 (SD: 5,3) µg/l dla LAN PR (ostatnia ocena) oraz 2,6 (SD: 4,0) (wynik po 3 miesiącach leczenia) dla OCT LAR, obserwowane różnice były istotne statystycznie ( $p < 0,001$ ). Zmniejszenie stężenia IGF-1 po 3 miesiącach leczenia obserwowano w badaniu Chanson 2000 zarówno w przypadku OCT LAR, jak i LAN PR: odpowiednio -84 µg/l vs -7 µg/l. Różnica zmian pomiędzy tymi lekami wyniosła -77 µg/l (z powodu braku danych nie była możliwa statystyczna ocena różnic). Przy ostatnim pomiarze u wszystkich chorych otrzymujących LAN PR stężenie IGF-1 wyniosło 436,0 (SD: 241,8) µg/l, natomiast u chorych leczonych przez 3 miesiące OCT było niższe i wyniosło 395,5 (SD: 237,4) µg/l, obserwowane różnice były istotne ( $p < 0,001$ ).

Nie wykazano istotnej statystycznie różnicy pomiędzy grupami przyjmującymi OCT LAR i LAN PR odnośnie punktów końcowych: odsetek chorych z normalizacją stężenia IGF-1, odsetek pacjentów uzyskujących poziom GH < 5 mU/l (1,9 µg/l).<sup>2</sup>

#### Porównanie OCT LAR vs LAN Autogel

Należy mieć na uwadze, iż porównanie to przeprowadzono w oparciu o tylko jedno badanie *cross-over* do którego włączono 12 osób. Wykazano w nim wyższą skuteczność OCT LAR w porównaniu do LAN Autogel w zmniejszaniu stężenia GH zarówno po 4 (p=0,005) jak i 6 miesiącach leczenia (p=0,005). Nie wykazano istotnych statystycznie różnic pomiędzy grupami przyjmującymi OCT LAR i LAN Autogel odnośnie punktów końcowych: zmiany w stężeniu IGF-1, odsetka chorych z normalizacją stężenia IGF-1, odsetka chorych uzyskujących stężenia GH <2,5mU/l (<0,96µg/l) oraz <1 mU/l (<0,38µg/l).<sup>2</sup>

#### Bezpieczeństwo stosowania

W niektórych badaniach ocenę bezpieczeństwa wykonano pobieżnie lub nie przeprowadzono jej w ogóle, co utrudniało ocenę tego aspektu leczenia. Z informacji uzyskanych z charakterystyki produktu leczniczego – Sandostatin®, Sandostatin® LAR® wynika, że najczęściej spotykanymi objawami niepożądanymi występującymi podczas stosowania oktreotydu są objawy miejscowe i zaburzenia żołądkowo-jelitowe.<sup>2</sup>

Rzadko obserwowano skórne reakcje, nadwrażliwość, odwracalną utratę włosów, reakcje anafilaktyczne, biegunki, wzdęcia, nudności, dolegliwości ze strony pęcherzyka żółciowego. W rzadkich przypadkach obserwowano również ostre zapalenie trzustki, u pacjentów leczonych długotrwale obserwowano zapalenie trzustki wywołane kamicą żółciową.<sup>2</sup>

#### Efektywność kosztowa

Celem analizy było oszacowanie kosztów efektywności oraz kosztów użyteczności stosowania octanu oktreotydu – w postaci produktu:

- Sandostatin:

- w leczeniu objawowym i leczeniu w celu zmniejszenia stężenia hormonu wzrostu (GH) i insulinopodobnego czynnika wzrostu (IGF-1) w osoczu pacjentów z akromegalią, u których leczenie chirurgiczne lub radioterapia okazały się niewystarczające lub nieskuteczne.

- w leczeniu pacjentów z akromegalią, u których leczenie operacyjne jest przeciwwskazane bądź u pacjentów odmawiających poddania się takiemu leczeniu lub będących w okresie przejściowym, przed wystąpieniem pełnych efektów radioterapii.

- Sandostatin LAR:

- w leczeniu pacjentów z akromegalią, których stan jest zadowalająco kontrolowany produktem Sandostatin podawanym podskórnie, u których leczenie chirurgiczne lub radioterapia jest niewskazana lub nieskuteczna, lub będących w okresie przejściowym, przed wystąpieniem całkowitego wyniku działania radioterapii.<sup>2</sup>

Wykonano analizę kosztów użyteczności i kosztów efektywności z perspektywy wspólnej płatnika i pacjenta obejmującą cały proces leczenia pacjentów z akromegalią w horyzoncie dożywotnim. Porównano 2 scenariusze uwzględniające zastosowanie chirurgii, radioterapii, agonistów dopaminy oraz analogów somatostatyny (w tym neoadiuwantowe podanie Sandostatin®) lub brak możliwości stosowania analogów somatostatyny (SA). Wykonano modelowanie metodą Monte Carlo. Za efekty zdrowotne związane z przebiegiem choroby i rodzajem leczenia uznano: zyskane lata życia (LYG) i zyskane lata życia w pełnej jakości (QALY). Uwzględniono tylko bezpośrednie koszty medyczne, nie uwzględniono kosztów leczenia działań niepożądanych. Nie przeprowadzono analizy minimalizacji kosztów dla długo działających form lanreotydu i oktreotydu, co uzasadniono brakiem wiarygodnych danych na temat równoważnych schematów dawkowania obu leków.<sup>2</sup>

Wyniki przeprowadzonych analiz wskazały, że zastosowanie produktów Sandostatin® i Sandostatin LAR® wiąże się z dodatkową korzyścią kliniczną i dodatkowymi kosztami dla płatnika. Średni koszt leczenia pacjenta z akromegalią w scenariuszu z SA wynosi ok. ■ PLN, a w scenariuszu bez dostępności oktreotydu ok. ■ PLN. Średnie przeżycie skorygowane o jakość w scenariuszu

z oktreotydem długo działającym wynosi ■■■ QALY, a w scenariuszu bez oktreotydu ■■■ QALY, natomiast średnie przeżycie to odpowiednio 18 i 17,3 roku. Koszt uzyskania dodatkowego roku życia w pełnej jakości wynosi ■■■ PLN, natomiast koszt uzyskania dodatkowego roku życia wynosi ■■■ PLN. Analiza wrażliwości wykazała, iż parametry modelu mające największy wpływ na wynik są związane z oszacowaniem przeżycia chorych z akromegalią, skutecznością kliniczną oktreotydu długo działającego i pierwotnego leczenia chirurgicznego oraz przyjętym horyzontem czasowym. Główne ograniczenia zmniejszające wiarygodność analizy wynikają z uwzględnienia wyników badań obserwacyjnych oraz przyjętych założeń dotyczących użyteczności.<sup>2</sup>

### **Wpływ na system ochrony zdrowia**

W przedstawionej przez podmiot odpowiedzialny analizie wpływu na system ochrony zdrowia oszacowano jedynie scenariusz aktualny zakładający dalsze finansowanie analogów somatostatyny na niezmiennych warunkach refundacyjnych. Analizy zatem nie rozpatrują scenariuszy usunięcia lub zmiany poziomu odpłatności. Autorzy analiz podmiotu odpowiedzialnego oszacowali wydatki na refundację analogów somatostatyny w pięciu kolejnych latach:

- 1) w wariantcie podstawowym scenariusza aktualnego- od ■■■ PLN w pierwszym roku do ■■■ PLN w piątym roku w perspektywie płatnika publicznego oraz ■■■ PLN w przypadku pacjentów wnoszących opłatę ryczałtową;
- 2) w wariantcie minimalnym populacyjnym scenariusza aktualnego- od ■■■ PLN dla płatnika publicznego oraz ■■■ PLN w przypadku pacjentów wnoszących opłatę ryczałtową.
- 3) w wariantcie maksymalnym populacyjnym scenariusza aktualnego- roczne koszty leczenia analogami somatostatyny chorych z akromegalią wyniosą ■■■ PLN dla płatnika publicznego oraz ■■■ PLN w przypadku pacjentów wnoszących opłatę ryczałtową.
- 4) w udziałowym minimalnym wariantcie scenariusza aktualnego roczne koszty leczenia chorych z akromegalią analogami somatostatyny wyniosą ■■■ PLN dla płatnika publicznego oraz ■■■ PLN w przypadku pacjentów wnoszących opłatę ryczałtową.
- 5) w maksymalnym udziałowym wariantcie scenariusza aktualnego roczne koszty leczenia analogami somatostatyny chorych z akromegalią wyniosą ■■■ PLN dla płatnika publicznego oraz ■■■ PLN w przypadku pacjentów wnoszących opłatę ryczałtową.<sup>2</sup>

### **Omówienie rekomendacji wydawanych w innych krajach w odniesieniu do ocenianej technologii**

Odnaleziono 11 rekomendacji klinicznych odnoszących się do zastosowania oktreotydu: w I linii leczenia (7 pozytywnych), w II / kolejnych liniach leczenia - jako leczenie uzupełniające (8 pozytywnych) oraz przed zabiegiem operacyjnym (5 pozytywnych) oraz 4 pozytywne rekomendacje finansowe dla zarejestrowanych wskazań w leczeniu akromegalii.<sup>2</sup>

Nie odnaleziono rekomendacji negatywnych.<sup>2</sup>

### **Podstawa przygotowania rekomendacji**

Rekomendacja została przygotowana na podstawie zlecenia z dnia 29 stycznia 2010 r. Ministra Zdrowia (znak pisma: MZ-PL-460-8365-193/GB/10) uzupełnione pismami z dnia 14 czerwca 2010 r. (znak pisma: MZ-PL-460-8365-274/GB/10), z dnia 25 sierpnia 2011 r. (znak pisma: MZ-PL-460-8365-455/GB/11), oraz z dnia 12 września 2011 r. (MZ-PLA-460-12508-5/GB/11) odnośnie przygotowania rekomendacji Prezesa Agencji w sprawie usunięcia z wykazu świadczeń gwarantowanych albo zmiany poziomu lub sposobu finansowania, lub warunków realizacji świadczenia opieki zdrowotnej „leczenie akromegalii przy wykorzystaniu produktów leczniczych zawierających substancję czynną octreotidum (Sandostatin®, Sandostatin Lar®)”, na podstawie art. 31 e ust. 1 art. 31 f ust. 5 oraz art. 31 h 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.), oraz po uzyskaniu Stanowiska Rady Konsultacyjnej nr 96/2011 z dnia 7 listopada 2011 r. w sprawie zmiany sposobu lub poziomu finansowania świadczenia gwarantowanego „Leczenie akromegalii przy wykorzystaniu produktów leczniczych zawierających substancję czynną octreotidum (Sandostatin®, Sandostatin LAR®)”.

**Piśmiennictwo**

1. Stanowisko Rady Konsultacyjnej nr 96/2011 z dnia 7 listopada 2011 r. w sprawie zmiany sposobu lub poziomu finansowania świadczenia gwarantowanego „Leczenie akromegalii przy wykorzystaniu produktów leczniczych zawierających substancję czynną octreotidum (Sandostatin®, Sandostatin LAR®)”.
2. Raport Nr: AOTM-OT-0316. Sandostatin®, Sandostatin® LAR® (oktreotyd) w leczeniu pacjentów z akromegalią. Raport ws. oceny świadczenia opieki zdrowotnej.
3. Charakterystyka produktu leczniczego.