

**Rekomendacja nr 2/2010**  
**Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych**  
**z dnia 18 stycznia 2010r.**  
**w sprawie zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej**  
**„leczenie nadmiaru żelaza w organizmie u dzieci przy wykorzystaniu**  
**produktu leczniczego deferazyroks (Exjade®) w ramach**  
**terapeutycznego programu zdrowotnego Narodowego Funduszu**  
**Zdrowia” jako świadczenia gwarantowanego**

**Prezes Agencji rekomenduje** zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „leczenie nadmiaru żelaza w organizmie u dzieci przy wykorzystaniu produktu leczniczego deferazyroks (Exjade®) w ramach terapeutycznego programu zdrowotnego Narodowego Funduszu Zdrowia” jako świadczenia gwarantowanego, w grupie pacjentów pomiędzy 2 a 18 rokiem życia.

#### **Uzasadnienie**

Deferazyroks charakteryzuje się podobną efektywnością kliniczną i profilem bezpieczeństwa do innych stosowanych w tym wskazaniu preparatów lecz jest podawany drogą doustną. Proponowana terapia chelatująca żelazo poprawi jakość życia pacjentów, u których codzienne iniekcje nie są możliwe do zrealizowania przez długi okres czasu.

Droga podania produktu leczniczego w proponowanym schemacie leczenia nadmiaru żelaza w organizmie u dzieci stanowi istotny czynnik dający przewagę terapii defareazyroksem nad standardową terapią chelatującą.

Poprzez mniej uciążliwy sposób podania leku zwiększa się prawdopodobieństwo stosowania się pacjenta do zaleceń lekarskich, co wpływa na efektywność terapii. Poprawie ulegną rezultaty stosowania terapii.

Terapia ograniczy tempo narastania powikłań u chorych i w konsekwencji wpłynie na ich długość życia.

Oprócz poprawy jakości życia, terapia ograniczy tempo narastania nadmiaru żelaza w organizmie, spowalniając tym samym występowanie konsekwencji przeładowania ustroju pacjenta żelazem, polegających na upośledzeniu okresu rozwojowego organizmu i prowadzących do kalectwa i przedwczesnej śmierci. Szczególne znaczenie terapia chelatująca ma dla pacjentów w okresie rozwojowym, gdyż od jej prawidłowego prowadzenia zależy czas wystąpienia objawów ubocznych związanych z nadmiarem żelaza w organizmie oraz ich zasięg i ciężkość, co bezpośrednio przekłada się na długość życia chorych. Ograniczenie częstości występowania i nasilenia powikłań przewlekłego obciążenia żelazem wpłynie na zmniejszenie ogólnych kosztów leczenia tych chorych.

Realizacja wnioskowanej terapii w ramach programu zdrowotnego umożliwi skuteczniejsze monitorowanie bezpieczeństwa i efektywności leczenia.

### **Podstawa przygotowania rekomendacji**

Rekomendacja została wydana zgodnie z art. 31 a-c 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.), na zlecenie Ministra Zdrowia z dnia 28 września 2009r. (znak pisma: MZ-PL-460-8365-81/GB/09), które dotyczyło wydania rekomendacji Prezesa Agencji dla świadczenia opieki zdrowotnej „leczenie nadmiaru żelaza w organizmie u dzieci przy wykorzystaniu produktu leczniczego deferazyroks (Exjade®) w ramach terapeutycznego programu zdrowotnego Narodowego Funduszu Zdrowia” w sprawie jego zakwalifikowania jako świadczenia gwarantowanego, wraz z określeniem poziomu finansowania w sposób kwotowy albo procentowy lub sposobu jego finansowania, lub warunków jego realizacji, po uzyskaniu Stanowiska Rady Konsultacyjnej nr 5/2/2010 z dnia 18 stycznia 2010 r. w sprawie zasadności zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej „leczenie nadmiaru żelaza w organizmie u dzieci przy wykorzystaniu produktu leczniczego deferazyroks (Exjade®) w ramach terapeutycznego programu zdrowotnego Narodowego Funduszu Zdrowia” jako świadczenia gwarantowanego.