



Rekomendacja nr 28/2010

**Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych
z dnia 30 sierpnia 2010r.**

**w sprawie zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej
„leczenie tętniczego nadciśnienia płucnego przy wykorzystaniu
produktu leczniczego sitaksentan (Thelin®)” w ramach programu
zdrowotnego Narodowego Funduszu Zdrowia, jako świadczenia
gwarantowanego**

Prezes Agencji nie rekomenduje zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej „leczenie tętniczego nadciśnienia płucnego przy wykorzystaniu produktu leczniczego sitaksentan (Thelin®)” w ramach programu zdrowotnego Narodowego Funduszu Zdrowia, jako świadczenia gwarantowanego.

Uzasadnienie

Tętnicze nadciśnienie płucne jest stanem klinicznym cechującym się obecnością przedwłośniczkowego nadciśnienia płucnego przy braku innych jego przyczyn, np. nadciśnienia płucnego w przebiegu chorób płuc, przewlekłego zakrzepowo-zatorowego nadciśnienia płucnego lub innych sporadycznie występujących chorób. Tętnicze nadciśnienie płucne charakteryzuje się identycznym dla różnych postaci obrazem zmian patologicznych w krążeniu płucnym - postępującym wzrostem oporu naczyń płucnych, które prowadzą do niewydolności prawokomorowej i przedwczesnego zgonu. W Polsce tętnicze nadciśnienie płucne rozpoznaje się u około 35-70 osób rocznie. Średnia wieku pacjentów np. z idiopatycznym nadciśnieniem tętniczym nie przekracza 35 lat, a średni czas przeżycia tych pacjentów wynosi około 2,8 roku.

Sitaksentan posiada status leku sierocoego. Rozszerza listę potencjalnych możliwości terapeutycznych w schorzeniu, które charakteryzuje się bardzo poważnym rokowaniem i dotyka często młodych ludzi.

Dokonanie oceny technologii medycznych w odniesieniu do leków sierocych jest zagadnieniem trudnym z uwagi na częsty brak leków porównawczych oraz niewielką ilość dostępnych doniesień naukowych, wynikającą z trudności prowadzenia miarodajnych badań na niewielkich populacjach.

Wzrasta przekonanie, że ocena ekonomiczna takich technologii medycznych powinna być tylko jednym z elementów procesu decyzyjnego w zakresie finansowania, w którym należy uwzględniać wybory i preferencje społeczeństwa. Decyzje refundacyjne w odniesieniu do leków sierocych podlegają ocenom ekonomicznym, jak również etycznym.

Oceniane w analizowanych badaniach punkty końcowe terapii trudno jednoznacznie interpretować klinicznie. Problem ten odnosi się do wszystkich badań dotyczących tętniczego nadciśnienia płucnego.



W analizie skuteczności klinicznej sitaksentanu, m.in., jako jedyny wspólny punkt końcowy analizowany we wszystkich włączonych do oceny skuteczności publikacjach oceniano 6-cio minutowy test marszu (6MWT). Przedstawiona przez podmiot odpowiedzialny analiza, przeprowadzona pod kątem skuteczności sitaksentanu oraz interwencji stosowanych w leczeniu tętniczego nadciśnienia płucnego, wskazuje na brak istotnych statystycznie różnic w skuteczności działania poszczególnych interwencji stosowanych w ramach terapeutycznego programu zdrowotnego w monoterapii.

Porównawcza ocena bezpieczeństwa sitaksentanu oraz interwencji komparatywnych, stosowanych w ramach terapeutycznego programu zdrowotnego, przeprowadzona na podstawie analizy częstości występowania działań niepożądanych, nie wykazała istotnych statystycznie różnic. Wyjątkowo obserwowano ciężkie działania niepożądane polegające na występowaniu nieprawidłowości w czynności wątroby. Związana z sitaksentan zwiększona aktywność AspAT i/lub AlAT miała początkowo charakter bezobjawowy.

Z uwagi na odnotowane ryzyko potencjalnie poważnego uszkodzenia wątroby wskazane wydaje się zachowanie daleko idącej ostrożności przy rozważaniu zasadności finansowania ze środków publicznych przedmiotowej interwencji i zakwalifikowania jej, jako świadczenia gwarantowanego realizowanego w ramach programu zdrowotnego Narodowego Funduszu Zdrowia.

Z uwagi na wykazany w analizie efektywności klinicznej brak istotnych statystycznie różnic w skuteczności sitaksentanu wobec interwencji komparatywnych do oceny efektywności ekonomicznej terapii zastosowano analizę minimalizacji kosztów. Założono, że kosztem różnicującym jest koszt zakupu leku. Koszty inkrementalne dla sitaksentanu względem czterech podstawowych komparatorów wskazały wzrost o 238 % dla jednego z nich oraz spadek o 31%, 11%, i 69% dla pozostałych.

Zarejestrowany w Unii Europejskiej, Kanadzie oraz Australii sitaksentan, lek z grupy wybiórczych inhibitorów receptora dla endoteliny ETA, nie został zarejestrowany przez amerykański Food and Drug Administration (FDA) do stosowania w leczeniu nadciśnienia płucnego. Kanadyjska agencja CADTH (Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health) dwukrotnie odmówiła finansowania leczenia nadciśnienia płucnego sitaksentanem.

Również zdaniem członków Rady Konsultacyjnej, ryzyko wystąpienia poważnych działań niepożądanych ze strony wątroby oraz fakt braku rejestracji preparatu sitaksentan przez FDA wskazują na brak podstawowych danych dotyczących potwierdzenia bezpieczeństwa stosowania tego preparatu, co musi zostać wyjaśnione przed podjęciem decyzji o finansowaniu terapii sitaksentanem ze środków publicznych.

Z uwagi na występowanie potencjalnego ryzyka poważnego uszkodzenia wątroby przewyższającego potencjalne korzyści z leczenia produktem sitaksentan pacjentów obciążonych chorobą o poważnym rokowaniu wydaje się słuszne w chwili obecnej zachować rezerwę wobec tej terapii do czasu wyjaśnienia wspomnianych wyżej wątpliwości.

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 9 grudnia 2009 r. (znak pisma: MZ-PL-460-8365-141/GB/09), dotyczące przygotowania rekomendacji Prezesa Agencji dla świadczenia opieki zdrowotnej „leczenie tętniczego nadciśnienia płucnego przy wykorzystaniu produktu leczniczego sitaksentan (Thelin®), 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 56/17/2010 z dnia 30 sierpnia 2010 r. w sprawie zasadności zakwalifikowania świadczenia „leczenie tętniczego nadciśnienia płucnego przy wykorzystaniu produktu leczniczego sitaksentan (Thelin®)” w ramach terapeutycznego programu zdrowotnego Narodowego Funduszu Zdrowia, jako świadczenia gwarantowanego.

PREZES
Matusiewicz
dr n. med. Wojciech J. Matusiewicz