



Rekomendacja nr 6/2010
Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych
z dnia 1 lutego 2010 r.
w sprawie świadczenia opieki zdrowotnej „leczenie ciężkich
wrodzonych hiperhomocysteinemii (homocystynurii) przy
wykorzystaniu produktu leczniczego betaina bezwodna
(Cystadane®) w ramach terapeutycznego programu zdrowotnego
Narodowego Funduszu Zdrowia” jako świadczenia gwarantowanego

Prezes Agencji rekomenduje zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „leczenie ciężkich, wrodzonych hiperhomocysteinemii (homocystynurii) przy wykorzystaniu produktu leczniczego betaina bezwodna (Cystadane®) w ramach terapeutycznego programu zdrowotnego Narodowego Funduszu Zdrowia”, jako świadczenia gwarantowanego.

Uzasadnienie

Choroby rzadkie, jako poważny problem zdrowotny dla społeczeństwa, uznane zostały za obszar priorytetowy działań w zakresie zdrowia publicznego Unii Europejskiej i uzyskały podstawowe znaczenie w programach Unii Europejskiej dotyczących zdrowia i badań naukowych.

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.

Betaina bezwodna znajduje zastosowanie jako uzupełnienie innych metod leczenia pacjentów z ciężką wrodzoną hiperhomocysteinemią. Oceny skutków interwencji w analizowanych materiałach dokonano w oparciu o pomiary zastępczych punktów końcowych - akceptowanych surogatów choroby. Kliniczna korzyść terapii betainą bezwodną jest trudna do wyodrębnienia z uwagi na fakt stosowania tego produktu w skojarzeniu z innymi opcjami terapeutycznymi.

Dla chorych nie odpowiadających na leczenie witaminą B6, obecnie na polskim rynku, brak jest alternatywy terapeutycznej.

Z uwagi na profil bezpieczeństwa produktu leczniczego betainy bezwodnej i ryzyko wystąpienia powikłań, realizacja wnioskowanej terapii powinna odbywać się w ramach programu zdrowotnego, co umożliwi skuteczniejsze monitorowanie bezpieczeństwa leczenia.

Wprowadzenie finansowania wnioskowanego świadczenia opieki zdrowotnej ze środków publicznych, w ramach programu zdrowotnego, stanowi odpowiedź na niezaspokojone dotychczas potrzeby zdrowotne grupy chorych z homocystynurią, nie odpowiadających na leczenie witaminą B6, dla których nie ma obecnie dostępnej żadnej skutecznej metody leczenia w Polsce.



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 21 października 2009r. (znak pisma: MZ-PL-460-8365-91/GB/09), które dotyczyło wydania rekomendacji Prezesa Agencji dla świadczenia opieki zdrowotnej „leczenie ciężkich, wrodzonych hiperhomocysteinemii (homocystynurii) przy wykorzystaniu produktu leczniczego betaina bezwodna (Cystadane®) 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 9/3/2010 z dnia 1 lutego 2010 r. w sprawie zasadności zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej „leczenie ciężkich wrodzonych hiperhomocysteinemii (homocystynurii) przy wykorzystaniu produktu betaina bezwodna (Cystadane®) w ramach terapeutycznego programu zdrowotnego Narodowego Funduszu Zdrowia” jako świadczenia gwarantowanego.