

Rekomendacja nr 19/2010

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych
z dnia 24 maja 2010r.

**w sprawie zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej
„leczenie stwardnienia rozsianego przy wykorzystaniu produktu
lecniczego natalizumab (Tysabri®) w ramach programu
zdrowotnego Narodowego Funduszu Zdrowia”, jako świadczenia
gwarantowanego**

Prezes Agencji rekomenduje zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „leczenie stwardnienia rozsianego przy wykorzystaniu produktu leczniczego natalizumab (Tysabri®) w ramach terapeutycznego programu zdrowotnego Narodowego Funduszu Zdrowia”, jako świadczenia gwarantowanego, **pod warunkiem**, obniżenia kosztu terapii do poziomu efektywności kosztowej zbliżonej do wartości 3 x PKB / QALY per capita.

Uzasadnienie

Stwardnienie rozsiane, jako przewlekła choroba ośrodkowego układu nerwowego o wysokim ryzyku szybkiego postępowania niepełnosprawności, dotyka aktywnych zawodowo pacjentów często w młodym wieku, stanowiąc istotny problem zdrowotny dla społeczeństwa. Poprzez nieodwracalne uszkodzenia układu nerwowego prowadzi do obniżenia jakości życia, niezdolności do pracy, niezdolności do samodzielnej egzystencji. Leczenie stwardnienia rozsianego ma na celu łagodzenie przebiegu rzutów, zapobieganie postępowi choroby, likwidowanie objawów.

Z uwagi na charakter choroby i przedstawienie przez podmiot odpowiedzialny wyników analiz efektywności klinicznej oraz bezpieczeństwa wnioskowanej technologii w horyzoncie dwuletnim, wnioskowanie o bezpieczeństwie terapii poza ten horyzont jest nieuprawnione.

Populacja pacjentów z doniesień naukowych, o które oparto analizy przedstawione przez podmiot odpowiedzialny nie jest tożsama z populacją, która ma wskazania rejestracyjne do terapii natalizumabem. Populacja docelowa technologii wnioskowanej może być bardziej obciążona.

Wyniki analizy efektywności klinicznej natalizumabu versus placebo wskazują na istotną statystycznie różnicę na korzyść natalizumabu w ilości oraz częstości rzutów, progresji choroby mierzonej w skali EDSS, zmniejszeniu liczby ognisk demielinizacyjnych oraz poprawę fizyczną oraz mentalną mierzoną wg skali SF-36. Wyniki porównań pośrednich natalizumabu z interferonem beta wskazują na znamienne niższe ryzyko wystąpienia rzutu SM w grupie natalizumabu, brak statystycznie istotnych różnic pomiędzy grupami w odniesieniu do zmniejszenia występowania rzutów SM oraz odsetka pacjentów z progresją choroby. Ryzyko wystąpienia ognisk demielinizacyjnych w grupie natalizumabu było znamienne niższe niż w grupie interferonu beta.

Ocena bezpieczeństwa wskazała, że w grupie natalizumabu istotnie statystycznie częściej niż w placebo występują reakcje alergiczne, dreszcze, zmęczenie i niepożądane reakcje towarzyszące podaniu leku. Po wprowadzeniu na rynek zgłaszane były spontaniczne ciężkie przypadki uszkodzeń wątroby.

Ryzyko rozwoju progresywnej wieloogniskowej leukoencefalopatii (PML), rzadkiego, ale poważnego zakażenia mózgu prowadzącego do ciężkiej niesprawności lub zgonu, rozwijającego się w wyniku przyjmowania produktu leczniczego natalizumab, wzrasta wraz z liczbą przyjętych dawek natalizumabu i wydaje się wzrastać po dwóch latach podawania natalizumabu. Z uwagi na ograniczony, dwuletni horyzont czasowy przedstawionych przez wnioskodawcę badań i stosunkowo niewielką liczbę pacjentów leczonych w tym czasie ponad 36-cioma dawkami, skala ryzyka rozwoju PML i innych działań niepożądanych nie może być dobrze określona. Aby zminimalizować występowanie oraz konsekwencje działań niepożądanych należy zapewnić odpowiednie procedury zarządzania ryzykiem związanym z PML i upewnić się, że pacjent i lekarz są świadomi ryzyka związanego z leczeniem produktem leczniczym natalizumab.

Finansowanie schematu leczenia natalizumabem ze środków publicznych zwiększyłoby spektrum terapeutyczne dla pacjentów cierpiących z powodu ciężkiej, szybko postępującej, rzutowo-remisyjnej postaci stwardnienia rozsianego.

Trudne do oszacowania bezpieczeństwo terapii natalizumabem oraz wyniki analizy ekonomicznej określającej koszt ok. 770 tys. złotych / QALY wskazują na brak efektywności kosztowej i wysokie ryzyko stosowania przedmiotowego schematu 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 21 października 2009 r. (znak pisma: MZ-PL-460-8365-91/GB/09), w sprawie przygotowania rekomendacji Prezesa AOTM dla świadczenia opieki zdrowotnej - leczenie stwardnienia rozsianego przy wykorzystaniu produktu leczniczego natalizumab (Tysabri®) 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 37/12/2010 z dnia 24 maja 2010r. w sprawie zasadności zakwalifikowania świadczenia „leczenie stwardnienia rozsianego przy wykorzystaniu produktu leczniczego natalizumab (Tysabri®)” w ramach programu zdrowotnego NFZ, jako świadczenia gwarantowanego.