



Rekomendacja nr 169/2014

z dnia 7 lipca 2014 r.

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych

w sprawie objęcia refundacją produktów leczniczych:

Kiovig, roztwór do infuzji, 1 g, 1 fiol., a 10 ml; Kiovig, roztwór do infuzji, 100 mg/ml, 1 fiol., a 25 ml; Kiovig, roztwór do infuzji, 5 g, 1 fiol., a 50 ml; Kiovig, roztwór do infuzji, 100 mg/ml, 1 fiol., a 100 ml; Kiovig, roztwór do infuzji, 20 g, 1 fiol., a 200 ml; Kiovig, roztwór do infuzji, 30 g, 1 fiol., a 300 ml; Gammagard S/D, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do infuzji, 5 g, 1 fiol. z prosz. + 1 rozpuszczalnik; Subcuvia, roztwór do wstrzykiwań, 0,16 g/ml, 10 ml; w ramach programu lekowego „Leczenie pierwotnych niedoborów odporności (PNO) u pacjentów dorosłych (ICD-10: D80 w tym D80.0, D80.1, D80.3, D80.4, D80.5, D80.6, D80.8, D80.9, D81.9; D82 w tym: D82.0, D82.1, D82.3, D82.9; D83 w tym: D83.0, D83.1, D83.8, D83.9; D89.9)”

Prezes Agencji rekomenduje objęcie refundacją produktów leczniczych:

- Kiovig, roztwór do infuzji, 1 g, 1 fiol., a 10 ml, kod EAN: 5909990425143
- Kiovig, roztwór do infuzji, 100 mg/ml, 1 fiol., a 25 ml, kod EAN: 5909990425150
- Kiovig, roztwór do infuzji, 5 g, 1 fiol., a 50 ml, kod EAN: 5909990425167
- Kiovig, roztwór do infuzji, 100 mg/ml, 1 fiol., a 100 ml, kod EAN: 5909990425174
- Kiovig, roztwór do infuzji, 20 g, 1 fiol., a 200 ml, kod EAN: 5909990425181
- Kiovig, roztwór do infuzji, 30 g, 1 fiol., a 300 ml, kod EAN: 5909990782208
- Gammagard S/D, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do infuzji, 5 g, 1 fiol. z prosz. + 1 rozpuszczalnik, kod EAN: 5909990756216
- Subcuvia, roztwór do wstrzykiwań, 0,16 g/ml, 10 ml, kod EAN: 5909990420490

w ramach grup limitowych: 1066.0, Immunoglobulinum humanum (dla postaci podawanych dożylnie) i 1066.1, Immunoglobulinum humanum subcutaneum (dla postaci podawanej



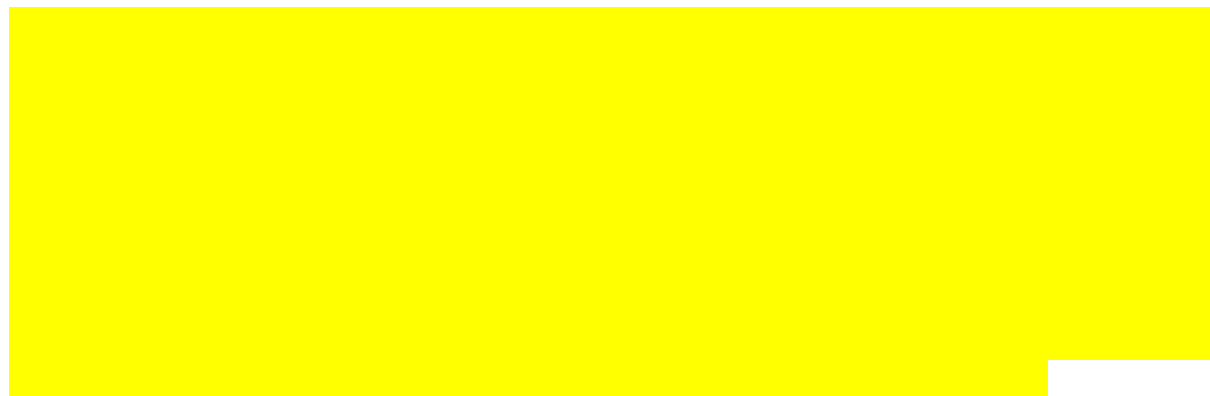
podskórnie), w programie lekowym „Leczenie pierwotnych niedoborów odporności (PNO) u pacjentów dorosłych (ICD-10: D80 w tym D80.0, D80.1, D80.3, D80.4, D80.5, D80.6, D80.8, D80.9, D81.9; D82 w tym: D82.0, D82.1, D82.3, D82.9; D83 w tym: D83.0, D83.1, D83.8, D83.9; D89.9)”.

W ocenie Prezesa zasadnym jest obniżenie ceny wnioskowanych leków do ceny najtańszych immunoglobulin znajdujących się na wykazie leków refundowanych.

Uzasadnienie rekomendacji

Prezes Agencji, przychylając się do stanowiska Rady Przejrzystości, uważa że dostępne dowody naukowe umiarkowanej jakości potwierdzają skuteczność immunoglobulin podawanych dożylnie i podskórnie w leczeniu PNO, u pacjentów dorosłych, ale nie wykazują jednoznacznej przewagi jednej formy podania leku nad drugą; poza opisywaną poprawą komfortu życia, związaną z możliwością podjęcia przez chorych terapii w warunkach domowych w przypadku podskórnego podawania leku. Zarówno dożylne, jak i podskórne podanie immunoglobulin zapewnia ochronę przed ciężkimi infekcjami bakteryjnymi u pacjentów z PNO. Obie drogi podania charakteryzują się akceptowalnym profilem bezpieczeństwa.

Za refundowaniem wnioskowanej technologii przemawiają również odnalezione rekomendacje, które zalecają finansowanie i stosowanie immunoglobulin u chorych z PNO, uznając jednocześnie aktualnie dostępne preparaty immunoglobulin za równoważne.



Prezes przychylił się do stanowiska Rady Przejrzystości dotyczącej udostępnienia w ramach programu lekowego obejmującego osoby dorosłe, wszystkich immunoglobulin refundowanych w ramach programu lekowego dla dzieci.

Przedmiot wniosku

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy finansowania ze środków publicznych immunoglobulin ludzkich normalnych. Podmiot odpowiedzialny, we wniosku o objęcie refundacją, zaproponował następujące ceny zbytu netto dla poszczególnych produktów leczniczych:



[REDAKTOWANE]
[REDAKTOWANE]
[REDAKTOWANE]

Proponowana kategoria dostępności refundacyjnej: lek dostępny w ramach programu lekowego „Leczenie pierwotnych niedoborów odporności (PNO) u pacjentów dorosłych (ICD-10: D80 w tym D80.0, D80.1, D80.3, D80.4, D80.5, D80.6, D80.8, D80.9, D81.9; D82 w tym: D82.0, D82.1, D82.3, D82.9; D83 w tym: D83.0, D83.1, D83.8, D83.9; D89.9)”, z poziomem odpłatności dla pacjenta: bezpłatnie, [REDAKTOWANE]

Problem zdrowotny

Pierwotne niedobory odporności (PNO) to stany chorobowe związane z niewydolnością układu immunologicznego, spowodowaną jego wrodzonymi wadami, co odróżnia je od nabytych deficytów odporności, wywołanych ekspozycją na szkodliwe działanie czynników zewnętrznych.

Wśród PNO najlichnieszą grupę stanowią schorzenia wymagające terapii substytucyjnej za pomocą immunoglobulin, klasyfikowane najczęściej jako:

- zaburzenia związane z upośledzeniem funkcjonowania limfocytów B, określane w literaturze również, jako pierwotne niedobory przeciwciał,
- zaburzenia mieszane, związane z upośledzeniem funkcjonowania obu rodzajów limfocytów, które można podzielić na zaburzenia:
 - typu (T-B+) – niedobór limfocytów T i nieprawidłowe funkcjonowanie limfocytów B, pomimo ich odpowiedniej lub podwyższonej ilości,
 - typu (T-B-) – niedobór obu rodzajów limfocytów.

Pierwotne niedobory odporności są chorobami rzadko występującymi. Pojawiają się wśród niemowląt i dzieci ze średnią częstością 1 / 10 000 urodzeń. W Polsce około 50% stanowią niedobory odporności związane z zaburzoną produkcją przeciwciał, 30% - zaburzenia odpowiedzi komórkowej, 10% - zaburzenia fagocytozy, 3% - niedobory dopełniacza; pozostałe (m. in. zaburzenia struktury nabłonków, uszkodzenia skóry, upośledzenie syntezy interferonów) są bardzo rzadkie.

W przypadku występowania niedoborów odporności pacjentowi zaleca się unikanie sytuacji sprzyjających zakażeniu. W ramach leczenia PNO stosuje się:

- Leczenie substytucyjne preparatami immunoglobulin i.v. (*intravenous immunoglobulins* – IVIg) lub s.c. (*subcutaneous immunoglobulins* - SCIg),
- Antybiotykoterapię profilaktyczną,
- Stosowanie czynników wzrostu G-CSF lub GM-CSF – w neutropeniach,
- Stosowanie interferonów a i g - w niedoborach odporności humoralnej (CVID, SIGAD, IGGSD), w niedoborach odporności komórkowej (zaburzenia osi IL-12/IFN-g) w defektach komórek fagocytujących (CGD),
- alo-HCT – w niektórych niedoborach pierwotnych.

Opis wnioskowanego świadczenia

Immunoglobulina ludzka normalna zawiera głównie immunoglobulinę G (IgG) o szerokim spektrum przeciwciał przeciwko czynnikom zakaźnym. Immunoglobulina ludzka normalna zawiera przeciwciała

IgG obecne w normalnej populacji. Przygotowuje się ją zwykle z puli osocza, w której skład wchodzi nie mniej niż 1000 donacji. Ma ona rozkład podklas immunoglobulin G ściśle proporcjonalny do występującego w naturalnym osoczu ludzkim. Dostatecznie duże dawki tego produktu leczniczego mogą przywrócić nienormalnie małe stężenie immunoglobulin G do prawidłowego zakresu.

Wnioskowanym wskazaniem jest leczenie pierwotnych niedoborów odporności u pacjentów dorosłych.

Wnioskowanym warunkiem objęcia refundacją jest stosowanie leku w ramach programu lekowego „Leczenie pierwotnych niedoborów odporności (PNO) u pacjentów dorosłych (ICD-10: D80 w tym D80.0, D80.1, D80.3, D80.4, D80.5, D80.6, D80.8, D80.9, D81.9; D82 w tym: D82.0, D82.1, D82.3, D82.9; D83 w tym: D83.0, D83.1, D83.8, D83.9; D89.9)”.

Kryteria włączenia do wyżej wymienionego programu muszą być spełnione łącznie, a obejmują:

1. rozpoznanie pierwotnego niedoboru odporności wymagającego (zgodnie z obowiązującymi kryteriami) terapii substytucyjnej z wykorzystaniem preparatów immunoglobulin (Ig), potwierdzone przez lekarza specjalistę immunologii klinicznej;
2. wykluczenie innych przyczyn zaburzeń odporności;
3. stężenie IgG poniżej dolnej granicy normy dla wieku (z wyjątkiem D80.3 i D80.6).

Do programu włączani są również pacjenci, którzy uprzednio byli leczeni przetoczeniami immunoglobulin w ramach JGP, pod warunkiem, że w chwili rozpoczęcia terapii substytucyjnej z wykorzystaniem Ig spełniali kryteria włączenia do programu.

Jeżeli nie można ocenić, czy w chwili rozpoczęcia terapii substytucyjnej pacjenci spełniali kryteria włączenia do programu, to leczenie można kontynuować w ramach programu lekowego, pod warunkiem, że przeprowadzone badania lub ocena kliniczna pozwolą na potwierdzenie, że chory spełnia kryteria włączenia do programu.

Kryteria wyłączenia z programu stanowią:

1. wystąpienie powikłań stanowiących bezwzględne przeciwwskazanie do substytucyjnego leczenia Ig, stwierdzone przez lekarza specjalistę immunologii klinicznej potwierdzone przez Zespół Koordynacyjny do Spraw Leczenia Pierwotnych Niedoborów Odporności;
2. negatywna weryfikacja wskazań do dalszej terapii substytucyjnej za pomocą Ig u danego pacjenta przez lekarza specjalistę immunologii klinicznej potwierdzona przez Zespół Koordynacyjny do Spraw Leczenia Pierwotnych Niedoborów Odporności;
3. brak zgody pacjenta lub jego opiekuna prawnego na kontynuację udziału w programie lekowym.

Alternatywna technologia medyczna

W przedmiotowym wskazaniu w ramach terapii substytucyjnej stosowane są preparaty immunoglobuliny ludzkiej, finansowane w przypadku dzieci w ramach programu lekowego (B.17 – załączony) oraz w przypadku dorosłych w lecznictwie szpitalnym w ramach Jednorodnych Grup Pacjentów. W związku z powyższym brak jest technologii alternatywnych.

Skuteczność kliniczna

Do analizy włączono 3 przeglądy systematyczne. Wnioski dwóch przeglądów (Abolhassani 2012 i Lingman-Famme 2013) są ze sobą spójne: podanie podskórne immunoglobulin uznaje się za skuteczne i bezpieczne oraz co najmniej nie gorsze do podania dożylnego i powinno być ono rozważane ze względów klinicznych oraz ekonomicznych. Przegląd Ho 2008 wskazuje iż SCIg nie może być rozważane jako alternatywa dla IVIg, zalecane jest jedynie w przypadku pacjentów

z przeciwwskazaniami do IVIg, lub w przypadku pacjentów preferujących leczenie domowe ze względu na ograniczone dane kliniczne. Należy jednak zauważyć iż ten przegląd jest najstarszym z odnalezionych.

Do przeglądu systematycznego wnioskodawcy włączono 2 prospektywne badania pierwotne badań z randomizacją, oraz 13 badań prospektywnych bez randomizacji i 3 badania retrospektywne porównujące skuteczność i bezpieczeństwo immunoglobulin w podaniu dożylnym vs w podaniu podskórnym. Ze względu na specyfikę odnalezionych badań (w przypadku badań RCT – badania *cross-over* nieraportujące danych sprzed zamiany interwencji, w przypadku badań nRCT – przewaga badań typu „przed-po” (*Before-After Study, BAS*)), niemożliwe było przeprowadzenie metaanalizy.

Dane dotyczące ciężkich infekcji bakteryjnych dla porównania SCiG vs IVIg raportowano w 2 badaniach RCT oraz w 5 badaniach typu BAS. We wszystkich pracach, zarówno w przypadku stosowania SCiG, jak i IVIg, osiągnięto rekomendowany przez wytyczne EMA oraz FDA cel terapeutyczny, tj. roczną częstość infekcji ciężkich <1 w przeliczeniu na jednego pacjenta. W odniesieniu do infekcji ogółem wyniki badań RCT były niejednoznaczne, natomiast w większości badań nierandomizowanych częstość infekcji była mniejsza podczas terapii SCiG w porównaniu z okresem poprzedzającym, w którym chorzy otrzymywali IVIg.

Dane na temat poziomu IgG mierzonego przed podaniem kolejnej dawki Ig dla porównania SCiG vs IVIg raportowano w 2 badaniach RCT, w których stosowano ekwiwalentne dawki immunoglobuliny (Ig) (1:1) oraz w 13 badaniach typu BAS, w których stosunek dawek Ig wynosił 1:1 lub 1:1,37. W jednym badaniu RCT wykazano istotnie statystycznie większy wzrost IgG we krwi pacjentów w porównaniu z wartościami początkowymi w ramieniu SCiG niż w grupie IVIg (MD = 12,5%; p < 0,05). W drugim badaniu RCT poziom IgG był również wyższy w ramieniu SCiG niż IVIg, jednakże autorzy badania nie przeprowadzili analizy statystycznej. We wszystkich badaniach nierandomizowanych odnotowano wzrost poziomu IgG podczas terapii SCiG w porównaniu z wartościami z okresu, kiedy pacjenci otrzymywali IVIg. Dotyczyło to zarówno badań, w których stosowano ekwiwalentne dawki IVIg i SCiG, jak i takich, w których pacjentów przełączano w stosunku dawek 1:1,37. Wielkość zmiany była zróżnicowana i wynosiła od 3,5% do 37%.

Satysfakcję z terapii i jakości życia oceniano w jednym badaniu nRCT z grupą kontrolną i 8 badaniach typu BAS. W badaniu nRCT 78% uczestników deklaroowało bardzo duże zadowolenie ze stosowanego leczenia, niezależnie od drogi podania. Z kolei w badaniach typu BAS odnotowano znamienny wzrost satysfakcji z terapii oraz jakości życia po zamianie terapii prowadzonej w warunkach szpitalnych/ambulatoryjnych na podanie domowe SCiG. W grupie dorosłych obserwowano istotną statystycznie poprawę w zakresie funkcjonowania społecznego, ograniczenia w pełnieniu ról z powodu zdrowia fizycznego, poczucia zdrowia psychicznego, witalności, ogólnego poczucia zdrowia oraz percepcji zdrowia. W przypadku dzieci poprawa dotyczyła ogólnego stanu zdrowia, zdrowia psychicznego, aktywności rodzinnych, emocjonalnego zaangażowania rodziców oraz ich zaangażowania w aspekcie czasu, jak również ograniczeń w zakresie funkcjonowania emocjonalnego.

W 4 badaniach typu BAS raportowano dane odnośnie hospitalizacji, które występowały rzadko, a ich częstość była porównywalna dla IVIg i SCiG. W 1 badaniu RCT oraz w 3 pracach typu BAS analizowano nieobecności w szkole lub w pracy. Nie odnotowano różnic pomiędzy IVIg a SCiG w odniesieniu do absencji związanych z infekcjami, natomiast nieobecności ogółem występowały istotnie statystycznie rzadziej w przypadku SCiG niż IVIg (1 BAS).

Stopień kontroli objawów choroby za co najmniej odpowiedni uznało 90% badanych niezależnie od drogi podania Ig (1 nRCT). Ocena preferencji pacjentów przeprowadzona w 2 badaniach RCT i 7 badaniach typu BAS sugeruje, że chorzy skłaniają się częściej ku terapii domowej, możliwej w przypadku wyboru podskórnej drogi podania.

Aktualnie dostępne dowody naukowe dla porównania SCiG vs IVIg charakteryzują się ograniczeniami metodologicznymi i nie pozwalają na wskazanie przewagi jednej formy podania nad drugą. Zarówno dożylnie, jak i podskórne podanie Ig zapewnia ochronę przed ciężkimi infekcjami bakteryjnymi

u pacjentów z PNO. Obie drogi podania charakteryzują się także akceptowalnym profilem bezpieczeństwa. Niewątpliwą zaletą SClg jest możliwość podjęcia przez chorych terapii w warunkach domowych, co wiąże się ze wzrostem ich satysfakcji z leczenia oraz poprawą jakości życia.

Skuteczność praktyczna

Wnioskodawca nie przedstawił informacji odnośnie skuteczności praktycznej wnioskowanej technologii.

Bezpieczeństwo stosowania

Podczas stosowania normalnej ludzkiej immunoglobuliny do podawania dożylnego sporadycznie mogą wystąpić takie objawy niepożądane jak dreszcze, ból głowy, zawroty głowy, gorączka, wymioty, reakcje alergiczne, nudności, bóle stawów, obniżenie ciśnienia krwi oraz umiarkowany ból pleców. Rzadko normalne ludzkie immunoglobuliny mogą powodować nagły spadek ciśnienia krwi oraz w pojedynczych przypadkach wstrząs anafilaktyczny, nawet wówczas gdy pacjent nie wykazywał nadwrażliwości po poprzednim podaniu produktu.

Dane dotyczące zdarzeń niepożądanych ogółem dla porównania SClg vs IVIg raportowano w obydwu badaniach RCT (Chapel 2000, Desai 2009) oraz w 4 badaniach jednoramiennych typu „przed-po”.

W pracy Desai 2009 odnotowano brak istotnych statystycznie różnic pomiędzy SClg i IVIg w zakresie częstości ogólnoustrojowych zdarzeń niepożądanych (nie podano wartości liczbowych). Reakcje miejscowe o charakterze łagodnym oraz umiarkowanym wystąpiły podczas odpowiednio 66,3% oraz 3,0% podań SClg; tylko 2 podania (0,3%) wiązały się z wystąpieniem zdarzeń o charakterze poważnym, wymagających konsultacji medycznej.

W badaniu Chapel 2000 zdarzenia niepożądane miały w większości charakter łagodny i wystąpiły podczas 5,0% infuzji IVIg i 10,4% infuzji SClg (różnice nieistotne statystycznie). Niemniej w ramieniu SClg zdarzenia o charakterze ogólnoustrojowym dotyczyły tylko 3,3% infuzji. Pozostałe zdarzenia niepożądane miały charakter miejscowy i wynikały z wystąpienia bólu lub zaczerwienienia w miejscu podania leku. Nie odnotowano reakcji ciężkich, wymagających zaprzestania infuzji.

W badaniach nierandomizowanych zdarzenia niepożądane raportowane były w zróżnicowany sposób utrudniający ich analizę. W większości przypadków występowały częściej w ramieniu SClg niż IVIg i podobnie jak w badaniu Chapel 2000 miały przeważająco charakter łagodny i miejscowy. Ciężkie zdarzenia niepożądane występowały sporadycznie i w żadnym przypadku nie zostały uznane za powiązane ze stosowaną terapią.

Odnaleziono alerty wskazujące, że stosowanie produktów leczniczych zawierających Ig ludzką wiąże się z ryzykiem epizodów zakrzepowo-zatorowych (URPL, FDA, EMA, MHRA).

Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka



Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

Celem analizy ekonomicznej była ocena opłacalności finansowania normalnej immunoglobuliny ludzkiej do podawania dożylnego (produkty lecznicze Kiovig i Gammagard S/D) oraz podskórnego (produkt leczniczy Subcuvia) w ramach programu lekowego w leczeniu pierwotnych niedoborów odporności.



[REDAKCYJNE]

[REDAKCYJNE]

Analizę przeprowadzono z perspektywy płatnika publicznego (NFZ) oraz ze wspólnej perspektywy płatnika publicznego i pacjentów, które ze względu na brak partycypacji pacjentów w kosztach terapii są tożsame.

Uwzględniono następujące kategorie kosztowe: koszty leków, koszty podania leków, koszty kwalifikacji pacjentów do leczenia z zastosowaniem Ig, koszty monitorowania terapii Ig, koszty edukacji pacjentów w przypadku terapii SCIg w warunkach domowych (uwzględnione w ramach kosztów podania leków), [REDAKCYJNE].

[REDAKCYJNE]

[REDAKCYJNE]

[REDAKCYJNE]

[REDAKCYJNE]

[REDAKCYJNE]

[REDAKCYJNE]

Wskazanie czy zachodzą okoliczności, o których mowa w art. 13 ust. 3 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. nr 122, poz.696 z późn. zm.)

Analiza kliniczna nie zawiera randomizowanych badań dowodzących wyższości leku nad technologiami medycznymi refundowanymi w danym wskazaniu.



Wpływ na budżet płatnika publicznego

Celem analizy wpływu na budżet wnioskodawcy było oszacowanie wydatków płatnika publicznego w przypadku podjęcia pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych w ramach programu lekowego terapii substytucyjnej za pomocą immunoglobulin podawanych w formie dożylniej (produkty lecznicze: Kiovig i Gammagard S/D, IVIg) oraz podskórnej (produkt leczniczy Subcuvia, SCIg) u dorosłych z pierwotnym niedoborem odporności (PNO) wymagających terapii tego typu.



Analiza scenariuszowa objęła scenariusz istniejący, przedstawiający koszty ponoszone przez płatnika publicznego związane z leczeniem pacjentów z PNO w ramach leczenia szpitalnego oraz scenariusza nowego, w którym przedstawiono prognozy wpływu na budżet związane z refundacją w ramach programu lekowego. Wpływ na wielkość wydatków płatnika publicznego wyznaczony został, jako różnica pomiędzy scenariuszami „nowym” i „istniejącym”.



Analizę przeprowadzono w 2-letnim horyzoncie czasowym z punktu widzenia płatnika publicznego.



Uwagi do proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka



Uwagi do zapisów programu lekowego

Prezes Agencji zwraca uwagę, że uzgodniona wersja programu lekowego nie miała określonego celu programu, co jest wymogiem ustawowym, zaś w kryteriach włączenia do programu nie zdefiniowano wieku pacjentów. Prezes uznaje także za zasadne dodanie w treści działu dotyczącego schematu

dawkowania leków w punkcie 2. Sposób podania dopisku: „zgodnie z Charakterystyką Produktu Leczniczego”.

Omówienie rozwiązań proponowanych w analizie racjonalizacyjnej

Omówienie rekomendacji wydawanych w innych krajach w odniesieniu do ocenianej technologii

Odnaleziono łącznie 5 rekomendacji klinicznych, dotyczących zastosowania immunoglobuliny ludzkiej normalnej w pierwotnych niedoborach odporności: Arbeitsgemeinschaft der Wissenschaftlichen Medizinischen Fachgesellschaften (AWMF 2012), Canadian Blood Services & Canada's National Advisory Committee on Blood and Blood Products (CBS 2010), UK Primary Immunodeficiency Network (UK-PIN 2009), Asia Pacific Immunoglobulins in Immunology Expert Group (APIIEG 2009), Bonilla 2005 (Konsensus ekspertów AAAAI (American Allergy, Asthma and Immunology), ACAAI (American College of Allergy, Asthma and Immunology) i JCAAI (Joint Council of Allergy, Asthma and Immunology))

Wszystkie pozytywnie rekomendowały stosowanie immunoglobulin we wnioskowanym wskazaniu, nie wskazywały jednak konkretnego produktu leczniczego, odnosiły ogólnie do wszystkich zarejestrowanych produktów immunoglobuliny ludzkiej normalnej.

Odnaleziono rekomendacje refundacyjne dotyczące finansowania ze środków publicznych terapii zastępczej immunoglobulinami u pacjentów z pierwotnymi niedoborami odporności wydane przez australijski Medical Services Advisory Committee (MSAC 2012) oraz Haute Autorité de Santé (HAS 2007-2013). Rekomendacja MSAC odnosi się do immunoglobulin podawanych podskórnie ogólnie, bez wskazania konkretnego producenta preparatu. Rekomendacje HAS odnoszą się do konkretnych produktów leczniczych, z których jeden – Subcuvia jest objęty zleceniem Ministra Zdrowia.

Mała liczba rekomendacji finansowych może wynikać ze sposobu finansowania terapii, tzn. w niektórych krajach podobnie jak w Polsce odbywać się może ona w ramach leczenia szpitalnego.

Podstawa przygotowania rekomendacji

Rekomendacja została przygotowana na podstawie zlecenia z dnia 28.04.2014r. Ministra Zdrowia (znak pisma: MZ-PLR-460-20662-25/KWA/14), odnośnie przygotowania rekomendacji Prezesa w sprawie objęcia refundacją leków: Kiovig, roztwór do infuzji, 1 g, 1 fiol., a 10 ml, kod EAN: 5909990425143; Kiovig, roztwór do infuzji, 100 mg/ml, 1 fiol., a 25 ml, kod EAN: 5909990425150; Kiovig, roztwór do infuzji, 5 g, 1 fiol., a 50 ml, kod EAN: 5909990425167; Kiovig, roztwór do infuzji, 100 mg/ml, 1 fiol., a 100 ml, kod EAN: 5909990425174; Kiovig, roztwór do infuzji, 20 g, 1 fiol., a 200 ml, kod EAN: 5909990425181; Kiovig, roztwór do infuzji, 30 g, 1 fiol., a 300 ml, kod EAN: 5909990782208; Gammagard S/D, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do infuzji, 5 g 1 fiol. z prosz. + 1 rozpuszczalnik, kod EAN: 5909990756216; Subcuvia, roztwór do wstrzykiwań, 0,16 g/ml 10

ml, kod EAN: 5909990420490, na podstawie art. 35 ust 1. ustawy z dnia 12 maja 2011 roku o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. Nr 122, poz. 696, z późn. zm.), po uzyskaniu Stanowiska Rady Przejrzystości nr 208/2014 z dnia 7 lipca 2014 r. w sprawie oceny leku Kiovig (kod EAN: 5909990425143) we wskazaniu: leczenie pierwotnych niedoborów odporności (PNO) u pacjentów dorosłych; Stanowiska Rady Przejrzystości nr 209/2014 z dnia 7 lipca 2014 r. w sprawie oceny leku Kiovig (kod EAN: 5909990425150) we wskazaniu: leczenie pierwotnych niedoborów odporności (PNO) u pacjentów dorosłych; Stanowiska Rady Przejrzystości nr 210/2014 z dnia 7 lipca 2014 r. w sprawie oceny leku Kiovig (kod EAN: 5909990425167) we wskazaniu: leczenie pierwotnych niedoborów odporności (PNO) u pacjentów dorosłych; Stanowiska Rady Przejrzystości nr 211/2014 z dnia 7 lipca 2014 r. w sprawie oceny leku Kiovig (kod EAN: 5909990425174) we wskazaniu: leczenie pierwotnych niedoborów odporności (PNO) u pacjentów dorosłych; Stanowiska Rady Przejrzystości nr 212/2014 z dnia 7 lipca 2014 r. w sprawie oceny leku Kiovig (kod EAN: 5909990425181) we wskazaniu: leczenie pierwotnych niedoborów odporności (PNO) u pacjentów dorosłych; Stanowiska Rady Przejrzystości nr 213/2014 z dnia 7 lipca 2014 r. w sprawie oceny leku Kiovig (kod EAN: 5909990782208) we wskazaniu: leczenie pierwotnych niedoborów odporności (PNO) u pacjentów dorosłych; Stanowiska Rady Przejrzystości nr 214/2014 z dnia 7 lipca 2014 r. w sprawie oceny leku Gammagard S/D (kod EAN: 5909990756216) we wskazaniu: leczenie pierwotnych niedoborów odporności (PNO) u pacjentów dorosłych; Stanowiska Rady Przejrzystości nr 215/2014 z dnia 7 lipca 2014 r. w sprawie oceny leku Subcuvia (kod EAN: 5909990420490) we wskazaniu: leczenie pierwotnych niedoborów odporności (PNO) u pacjentów dorosłych

Piśmiennictwo

1. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 208/2014 z dnia 7 lipca 2014 r. w sprawie oceny leku Kiovig (kod EAN: 5909990425143) we wskazaniu: leczenie pierwotnych niedoborów odporności (PNO) u pacjentów dorosłych
2. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 209/2014 z dnia 7 lipca 2014 r. w sprawie oceny leku Kiovig (kod EAN: 5909990425150) we wskazaniu: leczenie pierwotnych niedoborów odporności (PNO) u pacjentów dorosłych
3. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 210/2014 z dnia 7 lipca 2014 r. w sprawie oceny leku Kiovig (kod EAN: 5909990425167) we wskazaniu: leczenie pierwotnych niedoborów odporności (PNO) u pacjentów dorosłych
4. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 211/2014 z dnia 7 lipca 2014 r. w sprawie oceny leku Kiovig (kod EAN: 5909990425174) we wskazaniu: leczenie pierwotnych niedoborów odporności (PNO) u pacjentów dorosłych
5. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 212/2014 z dnia 7 lipca 2014 r. w sprawie oceny leku Kiovig (kod EAN: 5909990425181) we wskazaniu: leczenie pierwotnych niedoborów odporności (PNO) u pacjentów dorosłych
6. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 213/2014 z dnia 7 lipca 2014 r. w sprawie oceny leku Kiovig (kod EAN: 5909990782208) we wskazaniu: leczenie pierwotnych niedoborów odporności (PNO) u pacjentów dorosłych
7. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 214/2014 z dnia 7 lipca 2014 r. w sprawie oceny leku Gammagard S/D (kod EAN: 5909990756216) we wskazaniu: leczenie pierwotnych niedoborów odporności (PNO) u pacjentów dorosłych
8. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 215/2014 z dnia 7 lipca 2014 r. w sprawie oceny leku Subcuvia (kod EAN: 5909990420490) we wskazaniu: leczenie pierwotnych niedoborów odporności (PNO) u pacjentów dorosłych
9. Raport nr AOTM-RK-4351-3/2014. Wniosek o objęcie refundacją leków: Kiovig (immunoglobulina ludzka normalna), Gammagard S/D (immunoglobulina ludzka normalna), Subcuvia (immunoglobulina ludzka normalna) we wskazaniu: leczenie pierwotnych niedoborów odporności (PNO) u pacjentów dorosłych. Analiza weryfikacyjna.