

Rekomendacja Rady Konsultacyjnej
dotycząca finansowania ze środków publicznych
omalizumabu (Xolair®)
w leczeniu astmy alergicznej o ciężkim przebiegu

Tryb przygotowania rekomendacji

Stanowisko Rady Konsultacyjnej AOTM dotyczące finansowania ze środków publicznych stosowania leku **Omalizumab (Xolair®)** w leczeniu **astmy alergicznej o ciężkim przebiegu** przyjęto na posiedzeniu 19 lutego 2008 r. Całość oceny podjęta została przez AOTM na zlecenie Ministra Zdrowia, w związku z wnioskiem dotyczącym uruchomienia programu terapeutycznego.

Problem zdrowotny i interwencja lecznicza

Astma alergiczna jest przewlekłą zapalną chorobą dróg oddechowych, prowadzącą do nadreaktywności oskrzeli na różne czynniki. Może mieć podłoże atopowe.

Na astmę w Polsce choruje 5,4% osób dorosłych (1,6 mln dorosłych Polaków) i 8,6% (756 tys.) dzieci*. Przy braku badań dla Polski założono, że liczba chorych na ciężką postać astmy IgE-zależnej jest zbliżona do wartości podawanych w innych krajach europejskich i waha się w granicach 1200-1600 osób.†

Omalizumab jest humanizowanym przeciwciałem monoklonalnym wytwarzanym w technologii rekombinacji DNA, które w sposób wybiórczy wiąże się z ludzką immunoglobuliną E (IgE), w ten sposób zmniejszając ilość wolnej IgE, zdolnej do wyzwolenia kaskady alergicznej.

Omalizumab podaje się wyłącznie podskórnym w dawce uwzględniającej masę ciała i poziom przeciwciał IgE.

Preparat Xolair jest zarejestrowany do poprawy kontroli astmy w leczeniu wspomagającym u dorosłych i młodzieży (w wieku 12 lat i starszych) z ciężką, przewlekłą astmą alergiczną, u których stwierdzono dodatni wynik testu skórniego, zmniejszoną czynność płuc (FEV₁ <80%) jak również częste objawy choroby oraz wielokrotnie udokumentowano ciężkie zaostrzenia astmy występujące pomimo przyjmowania dużych dobowych dawek kortykosteroidów wziewnych w skojarzeniu z długo działającym agonistą receptorów β₂. Leczenie preparatem Xolair można rozważać jedynie u tych pacjentów, w przypadku których wiadomo, że astma została wywołana za pośrednictwem IgE.[Charakterystyka Produktu Leczniczego Xolair]

* Małolepszy J, Liebhart J, Wojtyniak B. Występowanie chorób alergicznych w Polsce. Alergia Astma Immunologia VII Zjazd PTA Łódź, 2000; S2

† Proponowany program terapeutyczny

Rekomendacja

Działając na podstawie zarządzenia Ministra Zdrowia[‡] Rada Konsultacyjna Agencji Oceny Technologii Medycznych **nie rekomenduje finansowania** ze środków publicznych preparatu omalizumab w leczeniu astmy alergicznej o ciężkim przebiegu.

Uzasadnienie rekomendacji


1. Dostępne dowody naukowe dotyczące efektywności klinicznej omalizumabu w astmie alergicznej o ciężkim przebiegu (populacja określona w proponowanym programie terapeutycznym), są niskiej jakości i wiarygodności, przy braku oceny wpływu na śmiertelność.
2. Szerokie i mało precyzyjne kryteria w proponowanym programie terapeutycznym stosowania omalizumabu w leczeniu ciężkiej astmy, zwiększające ryzyko niekontrolowanych nakładów.
3. Brak wiarygodnego oszacowania kosztu uzyskania QALY dla warunków polskich, odpowiadających proponowanemu programowi terapeutycznemu.

Wyjaśnienie uzasadnienia

Jedynym odnalezionym badaniem, które dotyczyło populacji pacjentów z astmą alergiczną o ciężkim przebiegu (zdefiniowanej w proponowanym programie terapeutycznym) była randomizowana, podwójnie zaślepiona próba kliniczna porównująca leczenie standardowe + omalizumab vs leczenie standardowe + placebo w okresie 28 tygodni [Humbert 2005]. Wykonano analizę *per protocol* a nie analizę zgodną z intencją leczenia. Ponadto, po uzyskaniu nieznamiennego statystycznie wyniku w zakresie pierwszorzędowego punktu końcowego (klinicznie istotnych zaostrzeń astmy) dokonano zmiany protokołu badania, uwzględniając różną w obu grupach częstość zaostrzeń w roku poprzedzającym włączenie do badania. Taka różnica może świadczyć o nieskuteczności lub błędach procesu randomizacji. W badaniu nie analizowano wpływu omalizumabu na śmiertelność. Z 482 randomizowanych pacjentów analizie poddano 209 w grupie z omalizumabem i 210 w grupie z placebo, co stanowi znaczny odsetek utraty pacjentów z badania, przekraczający 13%.

W proponowanym programie terapeutycznym podano nieprecyzyjne kryteria kontynuacji terapii, które mogą skutkować znacznym rozszerzeniem populacji pacjentów stosujących nadal leczenie omalizumabem pomimo wątpliwego efektu klinicznego.

W materiałach dostarczonych z wnioskiem [Władysiuk-Blicharz 2005] przedstawiono wyłącznie zestawienie dodatkowych kosztów związane z finansowaniem omalizumabu z efektami klinicznymi. Nie odnaleziono oszacowania kosztów uzyskania roku życia skorygowanego o jakość dla warunków opisanych w proponowanym programie terapeutycznym.



dr hab. n. med. Rafał Nizankowski
Przewodniczący Rady Konsultacyjnej

[‡] Rada Konsultacyjna działa na podstawie zarządzenia Ministra Zdrowia z dnia 30 czerwca 2006 r. w sprawie Agencji Oceny Technologii Medycznych. Jej zadaniem jest przygotowywanie rekomendacji dla Ministra Zdrowia dotyczących finansowania technologii medycznych ze środków publicznych.