



Polskie Towarzystwo Mukowiscydozy

Dziekanów Leśny, dn. 04.11.2024 r.

Siedziba Towarzystwa:

Dziekanów Leśny
ul. M. Konopnickiej 65
05-092 Łomianki
e-mail:
ptm@imid.med.pl

Zarząd Towarzystwa:

Prezes

Prof. dr hab. med.
Dorota Sands

Z-ca Prezesa

Dr n. med. Andrzej
Pogorzelski

Sekretarz

Dr n. med. Ewa
Sapiejka

Skarbnik

Dr n. med. Katarzyna
Walicka - Serzysko

Członkowie

Dr n. med. Radosława
Staszak - Kowalska
Dr n. med. Grzegorz
Gąsczyk
Lek. med. Wojciech
Skorupa
Dr n. med. Paweł
Gonerko
Lek. med. Łukasz
Woźniacki

STANOWISKO POLSKIEGO TOWARZYSTWA MUKOWISCYDOZY W SPRAWIE REFUNDACJI PRODUKTU LECZNICZEGO KAFTRIO (IWAKAFTOR + TEZAKAFTOR + ELEKSAKAFTOR) I KALYDECO (IWAKAFTOR)

W odpowiedzi na Stanowisko Rady Przejrzystości nr 116/2024 z dnia 28 października 2024 roku w sprawie oceny leku Kaftrio (ivacaftorum + tezacaftorum +elexacaftorum - ETI) w ramach programu lekowego B.112 „Leczenie chorych na mukowiscydozę (ICD-10: E84)”, Polskie Towarzystwo Mukowiscydozy wskazuje, że przedmiotowe stanowisko w kwestii merytorycznej jest błędne i niespójne z wnioskami zawartymi w Analizie efektywności klinicznej opublikowanej w kwietniu 2024.

"Dostępne dowody naukowe - badania RCT, badania jednoramienne i porównanie pośrednie, wskazują na wyższą skuteczność terapii ETI we wnioskowanej populacji w porównaniu z leczeniem iwakaftorem, lumakaforem/iwakaftorem, tezakaftorem/iwakaftorem + iwakaftor lub standardowe leczenie, przy zachowaniu akceptowalnego profilu bezpieczeństwa. Pomimo różnorodności analiz, biorąc pod uwagę grupy wiekowe, genotypy i komparatory, wyniki są spójne, wzajemnie się uzupełniają i potwierdzają, że efekt trójlekowej modulacji F508del-CFTR jest na tyle duży, że wystarcza obecność tylko pojedynczej mutacji F508del by osiągnąć oczekiwaną korzyść kliniczną. Wykazano całościową poprawę stanu klinicznego pacjentów, zarówno w odniesieniu do poprawy jakości życia (wynik w domenie oddechowej kwestionariusza CFQ-R) i zmniejszenia częstości zaostrzeń płucnych, jak również w zakresie wiarygodnych, istotnych predyktorów śmiertelności - poprawy czynności płuc wyrażonej zwiększeniem wartości ppFEV₁. Stosowanie terapii trójskładnikowej prowadziło ponadto do istotnego obniżenia stężenia jonów chlorkowych w pocie. Leczenie ETI doprowadziło do poprawy wskaźnika klirensu płucnego. Analizowane badania wykazały utrzymywanie się efektu terapeutycznego w czasie."

PTM wskazuje, że dane literaturowe i obserwacje kliniczne (w tym polskie) potwierdzają również znaczący i szybki spadek ilości transplantacji płuc u chorych z mukowiscydozą po wprowadzeniu ETI na rynek oraz redukcję śmiertelności. Przykładowo, we Francji przed 2020 roku corocznie transplantację płuc przeprowadzano u około 80 pacjentów z mukowiscydozą, a w 2021 roku już tylko 8 (10-krotna redukcja). Śmiertelność w tym okresie spadła z około 20 przypadków/rok, do 16 przypadków w 2020 roku i 3 przypadków w pierwszych 6 miesiącach 2021 roku. Podobnie optymistyczne dane pochodzą z polskich ośrodków transplantacji płuc (Poltransplant), CFF Foundation oraz Europejskiego Rejestru Mukowiscydozy (w Polsce 10 zgonów w 2022 roku vs 2 zgodny w roku 2023).

PTM ma świadomość wysokiego kosztu leczenia terapią ETI i trudności decyzji w kwestii refundacyjnej. Jednak wobec istotnego pozytywnego efektu zdrowotnego u chorych na mukowiscydozę, ETI powinno zostać objęte refundacją od 2 roku życia zgodnie z zakresem rejestracji terapii lekowej.

Literatura:

- Martin C, Legeai C, Regard L, Cantrelle C, Dorent R, Carlier N, Kerbaul F, Burgel PR. Major Decrease in Lung Transplantation for Patients with Cystic Fibrosis in France. *Am J Respir Crit Care Med.* 2022 Mar 1;205(5):584-586. doi: 10.1164/rccm.202109-2121LE. PMID: 34910604; PMCID: PMC8906480.
- Tijana Milinic, Kathleen J. Ramos, Eliana R. Gill, Nora Burdis, Christopher H. Goss, Siddhartha G. Kapnadak, A Dramatic Decline in Lung Transplantation for Cystic Fibrosis in the United States, *CHEST Pulmonary*, 2024, 100077, ISSN 2949-7892, <https://doi.org/10.1016/j.chpulm.2024.100077>.
- <https://www.cff.org/sites/default/files/2021-11/Patient-Registry-Annual-Data-Report.pdf>
- <https://www.cysticfibrosis.org.uk/news/key-findings-from-the-2022-uk-cf-registry-report>