

INFORMARE

privind clarificarea formulata de catre Comisia de gastroenterologie si gastroenterologie pediatrica a Ministerului Sanatatii cu privire la numarul pacientilor eligibili pentru medicamentul CUPRIOR (DCI TRIENTINUM)

Avand in vedere:

- documentul afisat pe site-ul CNAS la data de 31.05.2023 “COMUNICAT cu privire la solicitarea de clarificare a numarului pacientilor eligibili pentru DCI TRIENTINUM”
- adresa nr P4942/31.05.2023 prin care CNAS a solicitat Ministerului Sanatatii formularea unui punct de vedere al Comisiilor de specialitate relevante ale Ministerului Sănătății față de acesta solicitare de clarificare pentru DCI TRIENTINUM.
- adresa nr AR 10281/REG1/12495/DGAM 2711/21.08.2023 inregistrata la CNAS cu nr MSSM 3837/23.08.2023, prin care Ministerul Sanatatii comunica punctul de vedere al Comisiei de gastroenterologie si gastroenterologie pediatrica la solicitarea de clarificare a numarului pacientilor eligibili pentru DCI TRIENTINUM.

ținând cont de prevederile art. 4 din Ordinul ministrului sănătății și al președintelui Casei Naționale de Asigurări de Sănătate nr. 735/976/2018 privind modelul de contract, metodologia de negociere, încheiere și monitorizare a modului de implementare și derulare a contractelor de tip cost-volum/cost-volum-rezultat, cu modificările si completările ulterioare

aducem la cunoștința tuturor celor interesați punctul de vedere al Comisiei de gastroenterologie si gastroenterologie pediatrica a Ministerului Sanatatii comunicat prin adresa nr. AR 10281/REG1/12495/DGAM 2711/21.08.2023:

“Asa cum se menționează și în solicitarea de clarificare depusă de reprezentanții DAPP, boala Wilson (BW) reprezintă o tulburare severă a metabolismului cuprului, rezultând acumularea cuprului, exprimată printr-un spectru larg de manifestări clinice, între care predomină cele hepatice, neurologice, oculare, psihiatrice, dar nu numai, manifestări clinice regăsindu-se și la nivel osteoarticular, cutanat, endocrinologic. Boala Wilson este o afecțiune multisistemică având un tablou clinic variabil. În primele decade de viață predomină manifestările hepatice. După vârsta de 20 ani, 75% din cazurile nou diagnosticate se prezintă cu manifestări neurologice ireversibile, iar 25% atât cu manifestări hepatice, cât și neurologice.

Având în vedere prevederile care rezidă din metodologia privind modelul de contract, metodologia de negociere, încheiere și monitorizare a modului de implementare și derulare a contractelor de tip cost-volum/cost-volum-rezultat așa cum este aprobată de către actul normativ sus-menționat, respectiv “estimarea numărului pacienților eligibili pe indicație/arie terapeutică de către comisiile de specialitate relevante ale Ministerului Sănătății va fi realizată pe baza datelor naționale epidemiologice și/sau de morbiditate sau, când acestea nu există, estimarea numărului pacienților eligibili se va realiza în baza datelor epidemiologice internaționale din surse publice extrapolate la nivelul României”, si a realității în care nu există registre naționale pentru diversele patologii cu care pacienții români se confruntă, estimarea populației eligibile pe care Comisia de Gastroenterologie o poate realiza în conformitate cu prevederile legale menționate mai sus are în vedere datele epidemiologice cunoscute și extrapolate la nivelul României.

Din punct de vedere al terapiilor existente, pacienții cu BW beneficiază de tratament cu D-Penicilamină (DPA), Trientinum, săruri de Zinc, doar că în România nu există decât D-

Penicilamină. Este binecunoscut că 1/3 dintre pacienți vor dezvolta sau au intoleranță la DPA, iar dacă ne referim la pacienții români, știm de asemenea ca nu au acces la linia II de tratament cum este trientine, ceea ce crește riscul unei evoluții nefavorabile către forme grave de boală și deces al acestor pacienți.

Există date care demonstrează ca aproximativ 20-30% dintre pacienții tratați cu DPA vor dezvolta reacții adverse în primele 1-3 săptămâni de tratament, cel mai adesea incompatibile cu aderența la tratament și având ca rezultat întreruperea tratamentului, necesitând instituirea linei II de tratament. Asigurarea opțiunilor terapeutice pentru pacienții cu boală Wilson, inclusiv pentru cei intoleranți la DPA, realizează limitarea progresiei bolii, diminuarea simptomatologiei, creșterea calității vieții, iar speranța de viață a pacienților tratați este similară cu cea a populației generale ca vârstă.

Prevalența BW este relativ omogenă în Europa și este estimată la 3,3 la 100.000 de persoane (1/30.000) (Seria de rapoarte Orphanet, 2019), deși poate fi mai mare în zonele cu consangvinitate mare. Nu există date naționale solide bazate pe înregistrări în România, așa că se poate considera că prevalența BW în România nu diferă de cea din restul Europei, și acestea rămân datele epidemiologice extrapolate la nivelul României (după cum normele OMS 735/976/2018 precizează).

Conform informațiilor publicate pe site-ul www.orpha.net, boala Wilson este o boală rară, cu o prevalență în Europa cuprinsă între 1-9/100.000. Astfel, din estimările noastre, bazându-ne pe datele europene de prevalență și alegând prevalența cea mai frecvent folosită, respective între 1/30.000 și 1/50000, și extrapolată la populația României, considerăm următoarea estimare a populației eligibile:

- Populația României - 21.921.978 persoane (INSSE, Tempo Online)
- Prevalența bolii Wilson - 1/30.000 – 1/50000, respectiv 3,3/100.000 – 2/100000
- Prevalența pacienți BW în România – 724 pacienți respectiv 438 pacienți
- Prevalența intoleranți la DPA – 30% → 217 pacienți respectiv 146 pacienți

*Având în vedere aspectele menționate mai sus și că nu există un număr clar de pacienți cu boala Wilson, Comisia de Gastroenterologie estimează (pe baza datelor epidemiologice existente și a mediei aritmetice între cele estimări calculate) **o populație eligibilă pentru DCI TRIENTINE (Cuprior) de 180 pacienți.***

Comisia de gastroenterologie pediatrică, având în vedere faptul că estimarea s-a realizat pe baza datelor epidemiologice internaționale referitoare la boala Wilson, precizează faptul că, populația eligibilă estimată de Comisia de gastroenterologie cuprinde și populația pediatrică.”

Raportat la punctul de vedere al Comisiei de gastroenterologie și gastroenterologie pediatrică a Ministerului Sănătății și având în vedere prevederile art. 4 din Ordinul MS/CNAS nr. 735/976/2018, cu modificările și completările ulterioare, detinatorul de autorizație de punere pe piață/reprezentantul legal al acestuia poate depune la sediul CNAS, în completarea cererii prin care și-a exprimat disponibilitatea pentru începerea procesului de negociere, propunerea cu privire la elementele prevăzute la art. 12 alin. (10) și (11) din Ordonanța de urgență a Guvernului nr. 77/2011, cu modificările și completările ulterioare, care stau la baza negocierii, respectiv procentul maxim al numărului estimat de pacienți ce urmează a fi tratați efectiv pe perioada de derulare a contractului față de numărul de pacienți eligibili, volumele maxime de unități terapeutice aferente numărului estimat de pacienți, prețul cu amănuntul maximal fără TVA/prețul maximal cu ridicata stabilit pe unitate terapeutică din Catalogul național al prețurilor medicamentelor autorizate de punere pe piață în România (CANAMED) în vigoare la data depunerii propunerii și procentele corespunzătoare tabelului nr. 1 sau tabelului nr. 2 de la art. 12 alin. (11) din Ordonanța de urgență a Guvernului nr. 77/2011, cu modificările și completările ulterioare.