



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 64/2014 z dnia 24 lutego 2014 r.

w sprawie oceny leku Cystagon (EAN: 5909990213689) we wskazaniu
leczenie cystynozy nefropatycznej u pacjentów z postacią
wczesnodziecięcą

Rada Przejrzystości uważa za zasadne finansowanie produktu leczniczego Cystagon we wskazaniu leczenie cystynozy nefropatycznej u pacjentów z postacią wczesnodziecięcą w ramach programu lekowego. Lek powinien być dostępny bezpłatnie w ramach nowej grupy limitowej.

Uzasadnienie

Cysteamina jest lekiem stosowanym w terapii pacjentów z cystynozą nefropatyczną. Schorzenie to należy do grupy chorób sierocych charakteryzującym się zaburzeniami transportu cystyny w lizosomach, co z kolei skutkuje jego wewnątrzkomórkowym spichrzaniem. Dostępne dane kliniczne pochodzące z badań klinicznych umiarkowanej jakości wskazują, iż odpowiednio wcześnie zastosowana cysteamina pozwala spowalniać postęp choroby oraz istotnie opóźniać wystąpienie powikłań narządowych takich jak uszkodzenie siatkówki, niedoczynność tarczycy, niewydolność trzustki a przede wszystkim niewydolności nerek. Opinie ekspertów klinicznych, jak również wytyczne postępowania w cystynozie wskazują na celowość zastosowania cysteaminy w tym wskazaniu.

Przedmiot wniosku

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy finansowania ze środków publicznych produktu leczniczego we Cystagon (dwuwinian cysteaminy) wskazaniu leczenie cystynozy nefropatycznej u pacjentów z postacią wczesnodziecięcą. Wniosek dotyczy zamieszczenia w Wykazie refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych jako leków dostępnych bezpłatnie w ramach programu lekowego, następujących dawek i opakowań:

- Cystagon (dwuwinian cysteaminy), kapsułki twarde 50 mg; 100 kapsulek; kod EAN: 5909990213665
- Cystagon (dwuwinian cysteaminy), kapsułki twarde 150 mg; 100 kapsulek; kod EAN: 5909990213689.

Niniejsze stanowisko dotyczy produktu Cystagon (dwuwinian cysteaminy), kapsułki twarde 150 mg; 100 kapsulek; kod EAN: 5909990213689.

Problem zdrowotny

Jak w stanowisku nr 63/2014.



Opis wnioskowanej technologii medycznej

Jak w stanowisku nr 63/2014.

Alternatywne technologie medyczne

Jak w stanowisku nr 63/2014.

Skuteczność kliniczna

Jak w stanowisku nr 63/2014.

Skuteczność praktyczna

Jak w stanowisku nr 63/2014.

Bezpieczeństwo stosowania

Jak w stanowisku nr 63/2014.

Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka

Jak w stanowisku nr 63/2014.

Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

Jak w stanowisku nr 63/2014.

Wpływ na budżet płatnika publicznego

Jak w stanowisku nr 63/2014.

Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej

Jak w stanowisku nr 63/2014.

Dodatkowe uwagi Rady

Jak w stanowisku nr 63/2014.

Biorąc pod uwagę powyższe argumenty, Rada Przejrzystości przyjęła stanowisko jak na wstępie.

.....
Przewodniczący Rady Przejrzystości
prof. Tomasz Pasierski

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych, Nr: AOTM-DS-4351-10/2013, Wniosek o objęcie refundacją leku Cystagon (dwuwinian cysteaminy) we wskazaniu: leczenie cystynozy nefropatycznej u pacjentów z postacią wczesnodziecięcą, luty 2014 r.

Inne wykorzystane źródła danych, oprócz wskazanych w ww. raporcie:

1. Nie dotyczy.