



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 331/2018 z dnia 20 grudnia 2018 roku

w sprawie substancji czynnych levodopum + benserazidum,
levodopum + carbidopum we wskazaniach pozarejestacyjnych

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji produktów leczniczych, zawierających substancje czynne levodopum + benserazidum, levodopum + carbidopum we wskazaniach innych niż ujęte w charakterystyce produktu leczniczego, tj.: dystonia wrażliwa na lewodopę inna niż w przebiegu choroby i zespołu Parkinsona; niedobór hydroksylazy tyrozyny.

Uzasadnienie

W wyniku wyszukiwania aktualizacyjnego nie odnaleziono nowszych wytycznych klinicznych dotyczących dystonii reagującej na lewodopę (w tym niedoboru hydroksylazy tyrozyny), niż przedstawione w raporcie Agencji z 2013 r. nr AOTM-RK-434-18/2013, tj. wytyczne EFNS 2011; w opracowaniu Agencji z 2016 r. (AOTMiT-OT-434-55/2015) wskazano na te same rekomendacje.

W wyniku wyszukiwania nie odnaleziono również badań spełniających kryteria selekcji do przeglądu. Odnalezione publikacje stanowiły opisy przypadków.

Dystonia wrażliwa na lewodopę należy do grupy dystonii „plus”, w której objawom dystonicznym mogą towarzyszyć objawy zespołu parkinsonowskiego. Cechą charakterystyczną tej choroby jest dobra reakcja na leczenie niskimi dawkami lewodopy (typowa dobową dawką podtrzymująca 200–300 mg). Leczenie opisywanej dystonii przy pomocy lewodopy należy do standardowych metod farmakoterapii w praktyce klinicznej na całym świecie. Wyniki badań o charakterze opisów przypadków potwierdzają skuteczność kliniczną tej metody leczenia.

Niedobór hydroksylazy tyrozyny jest defektem genetycznym zaburzającym aktywność szlaku syntezy amin katecholowych. W wyniku mutacji dochodzi do obniżenia stężenia dopaminy, noradrenaliny i adrenaliny, co manifestuje się przede wszystkim objawami zespołu parkinsonowskiego. Zastosowanie lewodopy pozwala na dostarczenie substratu do syntezy amin, co koryguje ich niedobory, a zarazem znosi lub znacznie ogranicza objawy kliniczne choroby. Niedobór hydroksylazy tyrozyny spełnia kryteria choroby ultrazadkiej



i w związku z tym dowody kliniczne dotyczące zastosowania lewodopy są bardzo skromne i obejmują jedynie analizy przypadków.

Należy zauważyć, że finansowanie leku we wnioskowanych jednostkach chorobowych wiąże się z bardzo niskimi obciążeniami dla budżetu płatnika publicznego, co jest dodatkowym argumentem przemawiającym za jego refundowaniem.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2016 r., poz. 1536 z późn. zm.)

Wykorzystane źródła danych:

1. Opracowanie na potrzeby oceny zasadności dalszego finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego, Aneks do raportu nr: OT.4321.22.2018 „Levodopum + benserazidum, Levodopum + carbidopum we wskazaniach innych niż określone w ChPL”. Data ukończenia: 11 grudnia 2018 r.