Opinia Rady Przejrzystości nr 103/2019 z dnia 15 kwietnia 2019 roku w sprawie substancji czynnej vigabatrinum we wskazaniu pozarejestracyjnym: stany napadowe w przebiegu stwardnienia guzowatego – monoterapia

Rada Przejrzystości uważa za zasadną dalszą refundację leków zawierających substancję czynną vigabatrinum we wskazaniu pozarejestracyjnym: stany napadowe w przebiegu stwardnienia guzowatego – monoterapia.

Uzasadnienie

W 2016 r. Rada wydała pozytywną opinię (153/2016) w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych substancji czynnej vigabatrinum we wskazaniu innym niż ujęte w charakterystyce produktu leczniczego, tj.: stany napadowe w przebiegu stwardnienia guzowatego - monoterapia.

Zgodnie z Obwieszczeniem Ministra Zdrowia z dnia 27 lutego 2019 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 marca 2019 r. (Dz. Urz. z 2019 r., poz. 19) we wskazaniu stany napadowe w przebiegu stwardnienia guzowatego - monoterapia refundowane są obecnie 2 produkty lecznicze zawierające substancję czynną vigabatrinum: Sabril, tabl. powl., 500 mg, Sabril, granulat do sporządzania roztworu doustnego, 500 mg. Preparaty zawierające vigabatrinum są obecnie finansowane ze środków publicznych we wskazaniach: padaczka oporna na leczenie; zespół Westa oraz we wskazaniu pozarejestracyjnym: stany napadowe w przebiegu stwardnienia guzowatego – monoterapia. Leki te dostępne są w aptece na receptę za odpłatnością ryczałtową.

Odnaleziono 2 nowe opracowania wytycznych praktyki klinicznej, opublikowane w latach 2016-2019, odnoszące się do leczenia napadów padaczkowych w przebiegu stwardnienia guzowatego: UK 2019 oraz międzynarodowe - Curatolo 2018. W wytycznych międzynarodowych Wigabatryna w monoterapii rekomendowana jest jako I linia leczenia napadów ogniskowych w przebiegu stwardnienia guzowatego u dzieci poniżej pierwszego roku życia. Wytyczne brytyjskie wskazują, iż napady drgawek, inne niż napady zgięciowe, należy

leczyć w przebiegu SG zgodnie z ogólnymi zaleceniami dotyczącymi terapii epilepsji.

W ramach analizy skuteczności uwzględniono jedno retrospektywne badanie Clemento 2018. Badanie oparto o przegląd historii chorób pacjentów z jednego ośrodka w Stanach Zjednoczonych. Do badania zakwalifikowano ogółem 21 pacjentów, w tym tylko 8 pacjentów ze stwardnieniem guzowatym i stanami napadowymi innymi niż napady zgięciowe (tj. zespół Westa). Całkowite ustąpienie napadów tonicznych obserwowano u 2/5 pacjentów. Redukcję napadów o >90% oraz 50-90% raportowano odpowiednio u 3 i 2 pacjentów z napadami tonicznymi.

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 „Vigabatrinum we wskazaniach: innych niż określone w ChPL", raport nr: OT.4321.8.2019; aneks do raportu nr: OT.434.23.2016, data ukończenia: 10 kwietnia 2019 r.