



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 258/2020 z dnia 5 października 2020 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną brivaracetamum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną brivaracetamum, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj. terapia dodana po co najmniej trzech nieudanych próbach leczenia u dzieci i młodzieży poniżej 16. roku życia z encefalopatiami padaczkowymi pod postacią zespołu Lennox-Gastauta, Zespołu Dravet, zespołu Westa i innych rzadkich genetycznie uwarunkowanych encefalopatii padaczkowych, pod warunkiem obniżenia ceny i ograniczenia populacji do dzieci powyżej 4 roku życia.

Uzasadnienie

Encefalopatie padaczkowe o wczesnym wieku zachorowania stanowią grupę zespołów padaczkowych, charakteryzujących się występowaniem lekoopornych lub trudnych w opanowaniu napadów padaczkowych i współwystępują z zaburzeniami poznawczymi, neurorozwojowymi i behawioralnymi. W roku 2017 Rada Przejrzystości i Prezes AOTMIT zaopiniowali pozytywnie refundację produktu leczniczego Briviact, zawierającego brywaracetam, w ramach terapii dodanej u chorych powyżej 16. roku życia z padaczką ogniskową, z brakiem kontroli napadów lub nietolerancją leczenia, po zastosowaniu co najmniej dwóch prób terapii dodanej.

Analiza skuteczności, przeprowadzona dla wnioskowanej populacji (poniżej 16 r. ż.), oparta o trzy jednoramienne badania retrospektywne (Willems 2018, Nissenkorn 2019 oraz Visa-Rene 2019), wskazuje na możliwą redukcję częstości napadów u części pacjentów z genetycznie uwarunkowanymi encefalopatiami padaczkowymi (EE). Ograniczeniem analizy jest brak wysokiej jakości badań, a odnalezione jednoramienne badania retrospektywne dotyczyły niewielkiej liczby pacjentów pediatrycznych z EE o podłożu genetycznym (21-39%), obejmujących zespoły: Lennox-Gastauta, Westa, Dravet oraz innych (bez podziału na pacjentów pediatrycznych i dorosłych).



Profil bezpieczeństwa leku wydaje się akceptowalny, ale ograniczeniem analizy bezpieczeństwa jest fakt, że opiera się ona głównie na ekstrapolacji wyników badań przeprowadzonych w populacji osób dorosłych i młodzieży. W 2018 r. Europejska Agencja Leków rozszerzyła wskazanie dotyczące leku o leczenie wspomagające dzieci od 4 r.ż. z częściowymi i/lub uogólnionymi napadami padaczkowymi, uznając stosunek korzyści do ryzyka w populacji pediatrycznej za pozytywny.

W odnalezionych rekomendacjach klinicznych (NICE 2020, ILAE 2015, SIGN 2005, nie odniesiono się do terapii w trzeciej i kolejnych liniach leczenia u pacjentów z encefalopatiami padaczkowymi ani do możliwości stosowania brywaracetamu. NICE 2020, w zaleceniach ogólnych, wskazuje, że terapię skojarzoną można rozważyć tylko wtedy, gdy próby monoterapii lekami przeciwpadaczkowymi nie przyniosły efektów terapeutycznych i nie doprowadziły do zmniejszenia lub zniesienia napadów.

Odnaleziono dwie pozytywne rekomendacje refundacyjne, opublikowane w 2018 r. przez komisję AWMSG oraz SMC, dotyczące zastosowania brywaracetamu w populacji pediatrycznej w leczeniu częściowych napadów padaczkowych (POS, ang. partial-onset seizures), z wtórnym uogólnieniem lub bez, młodzieży i dzieci w wieku od 4 lat.

Zdaniem ekspertów klinicznych, lek jest bezpieczny i dobrze tolerowany, a terapia powinna być refundowana w celu zwiększenia opcji terapeutycznych w padaczkach lekoopornych o podłożu genetycznym.

Brak rejestrów oraz rozbieżne szacunki dotyczące liczby chorych, u których byłaby stosowana opiniowana terapia (od 135-497 pacjentów rocznie), nie pozwalają precyzyjnie oszacować wpływu refundacji na budżet, jednak w wariancie najszerszym może ona sięgać nawet kilku milionów. Z tego powodu, konieczne jest obniżenie ceny leku lub wprowadzenie RSS.

Uwaga Rady

Należy zwrócić uwagę, iż zgodnie z ChPL Brivact (brywaracetam), zarejestrowany jest w terapii wspomagającej w leczeniu napadów częściowych i częściowych, wtórnie uogólnionych, u dorosłych, młodzieży i dzieci w wieku od 4 lat z padaczką. Biorąc pod uwagę rodzaje napadów, towarzyszących zespołom padaczkowym określonym w zleceniu, oceniane wskazanie wydaje się częściowo zawierać we wskazaniu rejestracyjnym.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2020 r., poz. 357, z późn. zm.), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2020 r., poz. 1398), z uwzględnieniem opracowania nr: OT.4320.22.2020 „Brywaracetam we wskazaniu: terapia dodana po co najmniej trzech nieudanych próbach leczenia u dzieci i młodzieży poniżej 16. roku życia z encefalopatiami padaczkowymi pod postacią zespołu Lennox-Gastauta, Zespołu Dravet, zespołu Westa i innych rzadkich genetycznie uwarunkowanych encefalopatii padaczkowych”, data ukończenia: 30.09.2020 r.