



## Opinia Rady Przejrzystości

nr 8/2025 z dnia 13 stycznia 2025 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną vigabatrinum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj. stany napadowe w przebiegu stwardnienia guzowatego – monoterapia

*Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną vigabatrinum we wskazaniach pozarejestacyjnych: stany napadowe w przebiegu stwardnienia guzowatego – monoterapia.*

### Uzasadnienie

*Substancja czynna vigabatrinum we wskazaniu: stany napadowe w przebiegu stwardnienia guzowatego – monoterapia była przedmiotem oceny Rady Przejrzystości w 2022 r. i otrzymała pozytywną opinię Rady (nr 29/2022 z dnia 28 lutego 2022 r.).*

*W wyniku aktualnie przeprowadzonego wyszukiwania wytycznych klinicznych dotyczących zastosowania wigabatryny w przebiegu stwardnienia guzowatego, odnaleziono 4 rekomendacje: National Institute of Neurological Disorders and Stroke (NINDS 2024), Tuberous Sclerosis Australia (TSA 2024), European Paediatric Neurology Society (EPNS 2023) oraz National Institute for Health and Care Excellence (NICE 2022). Wigabatryna w monoterapii rekomendowana jest przede wszystkim jako I linia leczenia napadów zgięciowych (zespół Westa) w przebiegu stwardnienia guzowatego u dzieci, które stanowi wskazanie rejestracyjne (NINDS 2024, TSA 2024, EPNS 2023, NICE 2022). Ponadto, potencjalne korzyści z profilaktycznego stosowania wigabatryny u dzieci z TSC (zapobieganie napadom oraz wpływ na poprawę wyników neuropoznawczych/ rozwojowych) są aktualnie przedmiotem badań klinicznych (NINDS 2024, TSA 2024, EPNS 2023). W rezultacie, jedno z towarzystw naukowych (EPNS 2023) zdecydowanie rekomenduje stosowanie wigabatryny w leczeniu zapobiegawczym (przedobjawowym) napadów padaczkowych w przebiegu TSC, wskazując na potencjalną poprawę rozwoju neurologicznego dziecka i długoterminowych wyników leczenia padaczki.*

Towarzystwa naukowe zwracają również szczególną uwagę na ryzyko toksycznego wpływu wigabatryny na siatkówkę (w tym na ryzyko utraty pola widzenia) (NINDS 2024, TSA 2024, EPNS 2023).

W ramach aktualnie przeprowadzonego przeglądu odnaleziono 1 badanie pierwotne (wieloośrodkowe, podwójne zaślepienie RCT „PREVeNT” – badanie kliniczne II fazy) odnoszące się do oceny skuteczności i/lub bezpieczeństwa zastosowania wigabatryny w leczeniu zapobiegawczym napadom padaczkowym w przebiegu stwardnienia guzowatego u niemowląt (Bebin 2023). Zgodnie z wynikami badania klinicznego PREVeNT, zapobiegawcze wdrożenie wigabatryny opóźniło i zmniejszyło ogólną częstość występowania ogniskowych napadów padaczkowych u niemowląt z TSC. Czas do wystąpienia pierwszego napadu dowolnego rodzaju był podobny w grupie interwencyjnej otrzymującej wigabatrynę i w grupie kontrolnej (placebo), a zapobiegawcze leczenie wigabatryną nie doprowadziło do poprawy funkcji poznawczych (mierzonych skalą Bayley’a-III) ani zachowań adaptacyjnych (mierzonych skalą Vineland’a- II) u dzieci w wieku 24 miesięcy. Autorzy badania podkreślają, że leczenie wigabatryną było ogólnie dobrze tolerowane, a odnotowano jedynie niewielką liczbę zdarzeń niepożądanych (zmiany okulistyczne) związanych z wigabatryną (n=13).

Główne argumenty decyzji:

- Wyniki badania klinicznego wskazujące na skuteczność terapii,
- Rekomendacje kliniczne międzynarodowych towarzystw naukowych,
- Brak danych naukowych uzasadniających zmianę poprzedniej decyzji Rady.

**Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 930 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 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności dalszego finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr: OT.422.1.60.2024 (aneks do opracowania nr: OT.4220.6.2022) „Vigabatrinum we wskazaniu: stany napadowe w przebiegu stwardnienia guzowatego – monoterapia”, data ukończenia: 27.12.2024 r.