



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

BP.401.45.2021.LAn

**Protokół nr 43/2021
z posiedzenia Rady Przejrzystości
w dniu 13 września 2021 roku
w formie wideokonferencji**

Rafał Niżankowski otworzył posiedzenie o godzinie 10:00.

Członkowie Rady Przejrzystości (Rada) obecni przy rozpoczęciu posiedzenia (kworum 7 osób):

1. Anna Gręziak
2. Barbara Jaworska-Łuczak
3. Dorota Kilańska
4. Adam Maciejczyk
5. Rafał Niżankowski
6. Tomasz Pasierski
7. Jakub Pawlikowski
8. Tomasz Romańczyk
9. Janusz Szyndler

Proponowany porządek obrad:

1. Ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Latuda (lurasidonum) we wskazaniu: leczenie schizofrenii u młodzieży w wieku od 13. roku życia.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Lorenzo's Oil we wskazaniu: adrenoleukodystrofia.
4. Przygotowanie stanowisk w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego Epidyolex (cannabidiolum) we wskazaniach:
 - 1) napady padaczkowe związane z zespołem Lennox-Gastaut – pacjent pediatryczny,
 - 2) padaczka lekooporna.
5. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego: „Program polityki zdrowotnej w zakresie zdrowego odżywiania oraz aktywności fizycznej jako prewencji nadwagi i otyłości dzieci i młodzieży w województwie małopolskim »Ruch i zdrowe odżywianie to moje wyzwanie«”.
6. Zakończenie posiedzenia.

Ad 1. Żaden z członków Rady nie zadeklarował konfliktu interesów.

Rada jednogłośnie (9 głosów „za”) przyjęła zaproponowany porządek obrad.



Ad 2. Analityk Agencji zaprezentował dane w zakresie leku Latuda (wniosek refundacyjny) we wskazaniu dot. schizofrenii u młodzieży, a propozycję stanowiska Rady przedstawił Tomasz Pasierski.

Do posiedzenia dołączył Maciej Karaszewski, który nie zadeklarował konfliktu interesów.

Rada doprecyzowała treść stanowiska, w czym uczestniczyli: Rafał Niżankowski, Tomasz Pasierski, Tomasz Romańczyk i Maciej Karaszewski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 1 do protokołu).

Ad 3. Analityk Agencji omówił kwestie dot. środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Lorenzo's Oil (import docelowy) we wskazaniu: adrenoleukodystrofia, a propozycję stanowiska Rady przedstawił Maciej Karaszewski.

Po doprecyzowaniu treści uchwały przez Rafała Niżankowskiego i Macieja Karaszewskiego, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 2 do protokołu).

Ad 4. Analityk Agencji przedstawił prezentację dot. produktu leczniczego Epidyolex (import docelowy) we wskazaniach: napady padaczkowe związane z zespołem Lennox-Gastaut – pacjent pediatryczny oraz padaczka lekooporna.

1) Propozycję stanowiska Rady, dot. wskazania napady padaczkowe związane z zespołem Lennox-Gastaut, przedstawił Janusz Szyndler, po czym Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 3 do protokołu).

2) Propozycję stanowiska Rady, dot. wskazania padaczka lekooporna, przedstawił Janusz Szyndler, a głos w dyskusji zabrali: Rafał Niżankowski, Janusz Szyndler, Maciej Karaszewski i Anna Gręziak.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 4 do protokołu).

Ad 5. Analityk Agencji omówił założenia programu polityki zdrowotnej woj. małopolskiego dot. prewencji nadwagi i otyłości, a propozycję opinii Rady przedstawił Jakub Pawlikowski.

W dyskusji Rady uczestniczyli: Dorota Kilańska, Tomasz Romańczyk, Rafał Niżankowski, Jakub Pawlikowski, Anna Gręziak i Maciej Karaszewski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 5 do protokołu).

Ad 6. Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 11:14.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 109/2021 z dnia 13 września roku
w sprawie oceny leku Latuda (lurazydon) we wskazaniu: leczenie
schizofrenii u młodzieży w wieku od 13. roku życia

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktów leczniczych:

- *Latuda (lurazydon), tabletki powlekane, 18,5 mg, 28 tabl., kod GTIN: 05909991108670,*
- *Latuda (lurazydon), tabletki powlekane, 37 mg, 28 tabl., kod GTIN: 05909991108762,*
- *Latuda (lurazydon), tabletki powlekane, 74 mg, 28 tabl., kod GTIN: 05909991108878,*

we wskazaniu: leczenie schizofrenii u młodzieży w wieku od 13. roku życia, jako leku dostępnego w aptece na receptę, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie ich bezpłatnie.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Latuda jest nowoczesnym lekiem przeciwpsychotycznym finansowanym w Polsce do leczenia dorosłych chorych ze schizofrenią. Procedowany wniosek dotyczy rozszerzenia refundacji na młodzież w wieku od 13. roku życia.

Dowody naukowe

Wyniki przeglądu systematycznego z metaanalizą sieciową badań RCT opublikowanych w języku angielskim (Arango 2019) wskazują, że skuteczność lurazydonu jest porównywana do większości pozostałych leków przeciwpsychotycznych drugiej generacji, natomiast lurazydon ma korzystniejszy profil bezpieczeństwa od większości pozostałych leków w zakresie powodowania przyrostu masy ciała i wydłużenia odstępu QTc. Głównym ograniczeniem analizy klinicznej wnioskodawcy jest brak badań bezpośrednio porównujących skuteczność i bezpieczeństwo lurazydonu w leczeniu schizofrenii u młodzieży w wieku 13-17 lat ze wskazanymi przez wnioskodawcę komparatorami (ARI, OLA, RIS, QUE). Ponadto, ograniczenia analizy z heterogeniczności badań włączonych. Nie jest to żadną miarą terapia przełomowa.



Problem ekonomiczny

Terapia jest efektywna kosztowo. Stosowanie Latudy w miejsce terapii standardowej jest droższe. Oszacowany ICUR dla porównania z wyniósł [REDACTED]/QALY w perspektywie NFZ i [REDACTED]/QALY w perspektywie wspólnej. Wartości te znajdują się [REDACTED] progu ustawowego.

Analiza wpływu na budżet jest bardzo niepewna z uwagi na trudną do oceny dynamikę rynku wielu leków przeciwpsychotycznych w tej populacji. Prognozowany [REDACTED] związany z finansowaniem terapii lurazydonem w populacji docelowej analizy wyniesie [REDACTED] w I roku oraz [REDACTED] w II roku refundacji, z kolei wydatki całkowite z perspektywy wspólnej [REDACTED] w I roku oraz [REDACTED] w II roku refundacji.

Główne argumenty decyzji

- Refundacja w populacji dorosłej;
- Skuteczność kliniczna wykazana w wartościowych badaniach;
- Efektywność kosztowa;
- Mały wpływ na budżet płatnika.

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 (Dz. U. z 2021 r., poz. 523), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 1285, z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OT.4230.13.2021 „Wniosek o objęcie refundacją leku Latuda (lurazydon) we wskazaniu: leczenie schizofrenii u młodzieży w wieku od 13. roku życia”; data sporządzenia opracowania: 2 września 2021 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Angelini Pharma Polska Sp. z o.o.).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem (Angelini Pharma Polska Sp. z o.o.)

o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

Podstawa prawna wyłączenia jawności: art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2016 r., poz. 1764 z późn. zm.) w zw. z art. 11 ust. 4 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2018 r., poz. 419).

Organ dokonujący wyłączenia jawności: Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji.

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: (Angelini Pharma Polska Sp. z o.o.).



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 110/2021 z dnia 13 września 2021 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację
Lorenzo's Oil we wskazaniu: adrenoleukodystrofia

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Lorenzo's Oil we wskazaniu: adrenoleukodystrofia, u pacjentów bez lub z minimalnymi zmianami w obrazie rezonansu magnetycznego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Niniejsze stanowisko dotyczy wydawania zgód na import docelowego leku: Lorenzo's Oil we wskazaniu: adrenoleukodystrofia.

Rada Przejrzystości i Prezes Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w 2018 r. wydali pozytywne rekomendacje w sprawie zasadności wydania zgód na refundację w ramach importu docelowego Lorenzo's Oil we wskazaniu: adrenoleukodystrofia, w subpopulacji bezobjawowych pacjentów bez lub z minimalnymi zmianami w obrazie rezonansu magnetycznego. Opinia dotyczy aktualizacji i ponownej oceny tej technologii w tym wskazaniu.

Dowody naukowe

Nie odnaleziono nowych badań, czy wytycznych klinicznych odnośnie stosowania Lorenzo's Oil opublikowanych od czasu wydania ostatniej opinii Rady Przejrzystości. Należy jednak podkreślić, że adrenoleukodystrofia jest chorobą ultraradką, o niejednorodnym przebiegu klinicznym.

Wszystkie odnalezione wcześniej badania, były badaniami niekontrolowanymi i dotyczyły pacjentów z różnym stopniem zaawansowania choroby, oraz obrazem fenotypowym. Wyniki przeprowadzonej analizy w jednoramiennym badaniu Ahmed 2016 (104 pacjentów- bezobjawowych chłopców z X-ALD), wykazały, że każdy wzrost stężenia o 1 mg/l kwasu erukowego i stężenia kwasów C26:0 w osoczu były związane odpowiednio z nieistotną statystycznie redukcją o 3,7% i zwiększeniem o 753% ryzyka wystąpienia nieprawidłowości w obrazie MRI (NS (odpowiednio: $p=0,5344$; $p=0,1509$)). Autorzy analizy wskazali, że podawanie oleju Lorenza znacząco obniża nieprawidłowo wysokie stężenie C26:0 w osoczu.



Problem ekonomiczny

W 2020 roku wydano zgody na refundację dla 27 pacjentów na łączną kwotę 934 565 zł netto, tym samym wpływ na budżet płatnika jest niewielki.

Główne argumenty decyzji

- Wykazano, że podawanie Lorenzo's Oil powoduje obniżenie zbyt wysokiego poziomu bardzo długo łańcuchowych kwasów tłuszczowych (ang. very long chain fatty acids – VLCFA), co może przynieść korzyści w postaci opóźnienia rozwoju choroby u pacjentów bez zmian patologicznych w obrazie MRI mózgu i objawów neurologicznych;
- Niewielki wpływ na budżet płatnika.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust. 2 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 1285, z późn. zm.) oraz w zw. z art. 39 ust. 3 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 523), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności dalszego wydawania zgody na refundację nr OT.4211.29.2021 (Aneks do opracowania nr: OT.4311.24.2018) „Lorenzo's Oil we wskazaniu: adrenoleukodystrofia”; Data ukończenia: 7.09.2021 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 111/2021 z dnia 13 września 2021 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację produktu
lecniczego Epidyolex (cannabidiolum) we wskazaniu:
napady padaczkowe związane z zespołem Lennox-Gastaut – pacjent
pediatryczny

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację leku Epidyolex (cannabidiolum), roztwór doustny, 100 mg/ml, we wskazaniu: napady padaczkowe związane z zespołem Lennox-Gastaut – pacjent pediatryczny.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Zespół Lennox-Gastaut, należy do grupy encefalopatii wieku dziecięcego, o ciężkim przebiegu, z napadami padaczkowymi, zaburzeniami rozwojowymi i upośledzeniem umysłowym. Napady padaczkowe występujące w przebiegu zespołu są częste, a ponadto zazwyczaj odporne na leczenie farmakologiczne.

Epidyolex jest lekiem zawierającym substancję czynną kannabidiol, zarejestrowanym w leczeniu napadów padaczkowych związanych z zespołem Lennox-Gastaut lub z zespołem Dravet jako lek wspomagający w skojarzeniu z klobazamem u pacjentów w wieku 2 lat lub starszych oraz jako lek wspomagający w leczeniu napadów padaczkowych związanych ze stwardnieniem guzowatym u pacjentów w wieku 2 lat lub starszych. W związku z powyższym wnioskowane wskazanie jest tożsame ze wskazaniem rejestracyjnym.

Dowody naukowe

Skuteczność kannabidiolu w leczeniu wspomagającym napadów drgawek związanych z zespołem Lennox-Gastaut oceniano w dwóch badaniach randomizowanych, prowadzonych metodą podwójnie ślepej próby, kontrolowanych placebo, w grupach równoległych (GWPCARE3 i GWPCARE4). W obu badaniach wykazano, że stosowanie kannabidiolu wiąże się z znaczącym zmniejszeniem ryzyka napadów padaczkowych. W badaniu GWPCARE3 odsetek pacjentów ze zmniejszeniem częstości napadów wyniósł, w zależności od zastosowanej dawki, od 37,2% do 41,9%, w porównaniu z 17,2% w grupie



otrzymującej placebo. W badaniu GWPCARE4 uzyskano podobne wyniki uzyskując redukcję 43,9% w grupie otrzymującej kannabidiol (w obu przypadkach różnice były istotne statystycznie). W podgrupie pacjentów otrzymującej dodatkowo klobazam obserwowany efekt był korzystniejszy, z odsetkiem pacjentów z redukcją częstości napadów przekraczającym 60%.

Rekomendacje refundacyjne dla produktu Epidyolex w leczeniu zespołu Lennox-Gastaut nie są zgodne. Rekomendacje niemieckie (G-BA 2021), francuskie (HAS 2020), szkockie (SMC 2020) oraz brytyjskie (NICE 2019) były pozytywne (brytyjskie pod warunkiem obniżenia ceny) natomiast irlandzkie (NCPE 2021) i szwedzkie (TLV 2020) były negatywne (irlandzkie warunkowo) ze względu na koszty i niepewność związaną z długotrwałym efektem działania kannabidiolu.

Profil bezpieczeństwa leku jest zadowalający, a nasilenie większości zdarzeń niepożądanych było łagodne lub umiarkowane. Najczęściej zgłaszanymi zdarzeniami niepożądanymi były biegunka, senność i drgawki a 4 odnotowane w czasie badania zgony, nie zostały uznane przez badaczy za związane z leczeniem.

Problem ekonomiczny

Szacunkowa cena produktu leczniczego Epidyolex, wynosi ok. 6500 zł. Biorąc pod uwagę podtrzymującą i maksymalną dawkę rekomendowaną w CHPL (tj. 10 i 20 mg/kg m.c./dobę) przy założeniu średniej wagi dzieci w całej populacji (2-18 lat) na poziomie 40,55 kg), Roczny koszt stosowania produktu leczniczego Epidyolex u jednego pacjenta wynosi odpowiednio od około 92 tys. PLN do 186 tys. zł. W 2020 roku w ramach procedury importu docelowego wpłynęły wnioski o refundację produktu leczniczego Epidyolex w leczeniu napadów padaczkowych związanych z zespołem Lennox-Gastaut od 7 pacjentów, żaden z tych wniosków nie został rozpatrzony pozytywnie.

Główne argumenty decyzji

Dostępne dane, pochodzące z badań wysokiej jakości potwierdzają użyteczność kliniczną kannabidiolu w leczeniu napadów padaczkowych w przebiegu zespołu Lennox-Gastaut przy zadowalającym profilu bezpieczeństwa. Rekomendacje refundacyjne w większości są pozytywne a obciążenia budżetowe związane z leczeniem można uznać za umiarkowane.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust. 2 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 1285, z późn. zm.) oraz w zw. z art. 39 ust. 3 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 523), z uwzględnieniem

opracowania na potrzeby oceny zasadności dalszego wydawania zgody na refundację nr OT.4211.25.2021 (Aneks do opracowania nr: OT.4311.24.2018) „Epidyolex (kannabidiol) we wskazaniu: napady padaczkowe związane z zespołem Lennox-Gastauta – pacjent pediatryczny”; Data ukończenia: 9 września 2021 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezisie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 112/2021 z dnia 13 września 2021 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację produktu
lecniczego Epidyolex (cannabidiolum) we wskazaniu:
padaczka lekooporna

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację leku Epidyolex (cannabidiolum), zawiesina doustna, 100 mg/ml, we wskazaniu: padaczka lekooporna.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Padaczka lekooporna jest szczególną postacią padaczki, rozpoznawaną wówczas gdy podawanie co najmniej dwóch właściwie dobranych i stosowanych w optymalnych dawkach leków przeciwpadaczkowych nie prowadzi do uzyskania kontroli nad napadami (redukcja napadów mniejsza niż 50% względem stanu wyjściowego). Lekooporność wiąże się z podwyższonym ryzykiem pogarszania się funkcji poznawczych, zaburzeń nastroju oraz zgonu. Padaczka lekooporna może występować w przebiegu zespołów padaczkowych takich jak Lennox-Gastaut, Dravet, Jacobsena a także wielu innych encefalopatii dziecięcych. Stwierdzana jest także u około 30% pacjentów dorosłych leczonych z powodu padaczki.

Epidyolex jest lekiem zawierającym substancję czynną kannabidiol, zarejestrowanym w leczeniu napadów padaczkowych związanych z zespołem Lennox-Gastaut lub z zespołem Dravet jako lek wspomagający w skojarzeniu z klobazamem u pacjentów w wieku 2 lat lub starszych oraz jako lek wspomagający w leczeniu napadów padaczkowych związanych ze stwardnieniem guzowatym u pacjentów w wieku 2 lat lub starszych. W związku z powyższym wnioskowane wskazanie nie jest tożsame ze wskazaniem rejestracyjnym.

Dowody naukowe

Dowody naukowe na efektywność i bezpieczeństwo kannabidiolu w leczeniu padaczki lekoopornej są liczne. Niemniej poza wysokiej jakości badaniami potwierdzającymi efektywność kannabidiolu w zespole Lennox-Gastaut czy zespole Dravet duża część danych klinicznych pochodzi z badań niższej jakości, w tym analiz retrospektywnych czy opisów przypadków.



W ramach przeglądu systematycznego Lattanzi 2021 analizie poddano 42 badania oceniające skuteczność i bezpieczeństwo preparatu Epidyolex u pacjentów z padaczką lekooporną niesklasyfikowaną lub występującą w przebiegu szeregu chorób takich jak: stwardnienie guzowate, zespół Aikcardiego, zespół Doose, zespół Sturge-Webera, zespół Retta, czy lekooporna padaczka uogólniona lub ogniskowa. Uzyskane dane wskazują na dobrą efektywność kannabidiolu, z odsetkiem pacjentów z odpowiedzią kliniczną przekraczającym 50% oraz z zadowalającym profilem bezpieczeństwa.

Zdarzenia niepożądane miały zazwyczaj nasilenie łagodne lub umiarkowane i dotyczyły najczęściej senności, objawów żołądkowo-jelitowych, zmniejszenia apetytu i utraty masy ciała.

Kannabidiol rekomendowany jest przez wytyczne szkockie SIGN 2021 oraz belgijskie BGE 2020 jako opcja terapeutyczna w II lub dalszych liniach leczenia zespołu Lennox-Gastaut oraz zespołu Dravet u pacjentów powyżej drugiego roku życia. W stanowisku Amerykańskiego Stowarzyszenia Padaczki (American Epilepsy Society) z 2019, autorzy wskazują, że CBD jest umiarkowanie skuteczny w leczeniu pacjentów z napadami zarówno w zespole Lennox-Gastaut, jak i zespole Dravet.

Rekomendacje refundacyjne dla produktu Epidyolex w leczeniu zespołu Lennox-Gastaut nie są zgodne. Rekomendacje niemieckie (G-BA 2021), francuskie (HAS 2020), szkockie (SMC 2020) oraz brytyjskie (NICE 2019) były pozytywne (brytyjskie pod warunkiem obniżenia ceny) natomiast irlandzkie (NCPE 2021) i szwedzkie (TLV 2020) były negatywne (irlandzkie warunkowo) ze względu na koszty i niepewność związaną z długotrwałym efektem działania kannabidiolu.

Problem ekonomiczny

Zgodnie z informacjami przekazanymi przez MZ szacunkowa cena brutto (zawierająca marżę hurtową) produktu leczniczego Epidyolex, cannabidiolum, roztwór doustny 100mg/ml wynosi ok. 6500 zł.

Roczny koszt stosowania produktu leczniczego Epidyolex u jednego pacjenta (przy założeniu średniej masy ciała na poziomie 45,55 kg) wynosi około 200-250 tys. pln w zależności od leczonego zespołu.

Główne argumenty decyzji

Dostępne dane o zróżnicowanej jakości wskazują na możliwość korzystnego działania kannabidiolu w populacji pacjentów z lekooporną padaczką przy akceptowalnym profilu bezpieczeństwa.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust. 2 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 1285, z późn. zm.) oraz w zw. z art. 39 ust. 3 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 523), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności dalszego wydawania zgody na refundację nr OT.4211.25.2021 (Aneks do opracowania nr: OT.4311.27.2018) „Epidyolex (kannabidiol) we wskazaniu: padaczka lekooporna”; Data ukończenia: 9 września 2021 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 133/2021 z dnia 13 września roku 2021 r.

o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej w zakresie zdrowego odżywiania oraz aktywności fizycznej jako prewencji nadwagi i otyłości dzieci i młodzieży w województwie małopolskim „Ruch i zdrowe odżywianie to moje wyzwanie”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej w zakresie zdrowego odżywiania oraz aktywności fizycznej jako prewencji nadwagi i otyłości dzieci i młodzieży w województwie małopolskim »Ruch i zdrowe odżywianie to moje wyzwanie«”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie analitycznym oraz uwag Rady.

Uzasadnienie

Nadwaga oraz otyłość wśród dzieci stanowią narastający problem zdrowotny, który niesie konsekwencje w ich dalszym życiu w postaci zwiększenia prawdopodobieństwa wystąpienia nadciśnienia tętniczego, choroby wieńcowej, chorób metabolicznych, wad podstawy czy wtórnych zaburzeń psychologicznych. Z tego powodu uzasadnione są działania podejmowane na jak najwcześniejszym etapie rozwoju dziecka w celu przeciwdziałania nadmiernej wadze.

Przedstawiony do oceny projekt zakłada panel podstawowy i panel dodatkowy (przeznaczony dla dzieci z nadwagą i otyłością) obejmujący interwencje multikomponentową (konsultacje dietetyczne, konsultacje psychologiczne, konsultacje ze specjalistą aktywności ruchowej), dodatkowe zajęcia z aktywnością ruchową oraz edukację zdrowotną skierowaną do rodziców/opiekunów prawnych oraz do dzieci. Populację docelową programu stanowią będą dzieci w wieku 9 lat uczęszczające do szkół podstawowych na terenie województwa małopolskiego oraz ich rodzice/opiekunowie prawni. Program ma być realizowany w latach 2021-2030 roku. Planowane koszty całkowite (roczne) zostały oszacowane na 185 850 zł.

Projekt programu realizuje priorytet: „przeciwdziałanie występowaniu otyłości” należący do priorytetów zdrowotnych wymienionych w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 27 lutego 2018 r. (Dz.U. 2018 poz. 469). W projekcie opisano sytuację epidemiologiczną, określono cele ogólne i szczegółowe, mierniki efektywności, monitorowania, ocenę jakości świadczeń i sposoby ewaluacji,



a także budżet jednostkowi i całkowity. Zaplanowane działania są zgodne z rekomendacjami towarzystw naukowych (APA 2018, MQIC 2018b, ES 2017, USPSTF 2017, AAFP 2017). Szczególnie wartościowym elementem wydaje się interwencja multikomponentowa, mająca na celu redukcję masy ciała i wypracowanie odpowiednich nawyków żywieniowych i ruchowych. Zaproponowane w projekcie działania obejmą zalecane przez USPSTF 26 godzin kontaktowych. Budżet programu został skalkulowany realistycznie.

Wnioskodawca powinien uwzględnić uwagi zawarte w raporcie AOTMiT szczególnie dotyczące doprecyzowania niektórych działań w programie oraz odnieść się do map potrzeb zdrowotnych.

Uwagi Rady

Rada rekomenduje przygotowanie dla uczestników programu zindywidualizowanego planu postępowania, w szczególności dla dzieci, które nie będą reagować obniżeniem BMI w wyniku uczestnictwa w programie.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48a ust. 8 pkt 3, w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 3 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 1285, z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr OT.431.77.2021 „Program polityki zdrowotnej w zakresie zdrowego odżywiania oraz aktywności fizycznej jako prewencji nadwagi i otyłości dzieci i młodzieży w województwie małopolskim „Ruch i zdrowe odżywianie to moje wyzwanie” z września 2021 oraz z Raportem nr OT.423.2.2018 „Profilaktyka nadwagi oraz otyłości wśród dzieci i młodzieży w ramach programów polityki zdrowotnej” z kwietnia 2019 r.