



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 129/2015 z dnia 28 września 2015 roku
w sprawie oceny leku Orfadin (nityzynon), kod EAN 5909990214778,
we wskazaniu: leczenie tyrozyneimii typu I (HT-1)

Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Orfadin (nityzynon), 10 mg, kapsułki twarde, 60 sztuk, kod EAN 5909990214778, we wskazaniu: leczenie tyrozyneimii typu I (HT-1), w ramach nowej grupy limitowej i wydawanie go pacjentom bezpłatnie. Rada nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego. Zdaniem Rady należy zweryfikować badania dodatkowe wymagane przy włączeniu i realizacji programu lekowego. Zdaniem Rady nie jest również uzasadnione wykonywanie badań molekularnych w celu kwalifikacji do programu.

Uzasadnienie

Dostępne dowody naukowe oraz opinie ekspertów wskazują na istotne korzyści ze stosowania nityzynonu w leczeniu tyrozyneimii typu 1. Orfadin jest lekiem "sierocym" w powyższym wskazaniu. Populacja chorych leczonych tym preparatem w Polsce nie przekracza 15 pacjentów w ciągu roku. Wyniki analizy wpływu na budżet wskazują, że utworzenie programu lekowego będzie skutkowało oszczędnościami po stronie płatnika (zmniejszone koszty refundacji w porównaniu z importem docelowym). Lek jest refundowany w większości krajów Unii Europejskiej, w tym w 2-ch (Portugalia i Grecja) o podobnym do Polski PKB.

.....
Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości
prof. Rafał Suwiński

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 2015 r., poz. 345), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr AOTMiT-OT-4351-34/2015, „Wniosek o objęcie refundacją leku ORFADIN (nityzynon) we wskazaniu: leczenie tyrozyneimii typu I (HT-1)”, Data ukończenia: Warszawa, 18.09.2015 r.

