



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 96/2016 z dnia 12 września 2016 roku

w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację leku Taloxa (felbamat), we wskazaniach: padaczka, padaczka lekooporna, padaczka objawowa lekooporna, zespół Westa, padaczka miokloniczna Unverrichta-Lundborga

Rada Przejrzystości uważa za zasadne wydawanie zgody na refundację leku Taloxa (felbamat) tabletki á 400 mg i 600 mg oraz zawiesina doustna 0,12 g/ml, sprowadzanego zgodnie z art. 4 ustawy z dnia 6 września 2001 r, prawo farmaceutyczne (Dz.U. z 2008 r., Nr 45, poz. 271, z późn. zm.), we wskazaniach: padaczka, padaczka lekooporna, padaczka objawowa lekooporna, zespół Westa, padaczka miokloniczna Unverrichta-Lundborga, przy założeniu, że wykorzystano u pacjenta dostępne alternatywne metody leczenia lub istnieją przeciwwskazania do prowadzenia terapii z użyciem takich metod.

Uzasadnienie

Lkooporna padaczka stanowi poważny problem zdrowotny. W niektórych przypadkach brak jest zadawalających metod terapii. Felbamat jest lekiem poszerzającym możliwości terapeutyczne w takich sytuacjach. W opublikowanym w 2016 roku artykule omawiającym zalecenia i standardy jakości leczenia osób dorosłych z epilepsją (Pugh, McMillan, 2016) zawarte jest odwołanie się do opinii Amerykańskiej Akademii Neurologii (French i wsp, 1999), opartej na analizie 54 publikacji dotyczących omawianego leku. Jej autorzy rekomendują, aby w podejmowaniu decyzji o stosowaniu felbamatu uwzględniać ryzyko poważnych działań niepożądanych dotyczących funkcjonowania wątroby oraz układu krwiotwórczego, co obejmuje edukację pacjentów i monitorowanie wyników laboratoryjnych. Ze względu na dowody naukowe (klasy I) dotyczące skuteczność tego leku w określonych wskazaniach stosunek korzyści do ryzyka przemawia za stosowaniem felbamatu: w zespole Lennox-Gastatuta u osób w wieku powyżej 4 roku życia nie odpowiadających na inne leczenie; u pacjentów z trudnymi do leczenia częściowymi napadami padaczkowymi, którzy nie odpowiedzieli na standardowe leczenie; u pacjentów przyjmujących go dłużej niż 18 miesięcy.



Jako niejasne wskazanie (klasa dowodów III – opisy przypadków i opinie ekspertów) autorzy omawianego stanowiska wymieniają wiele, innych trudnych do leczenia postaci padaczki.

Opublikowane retrospektywne, jednośrodkowe badanie 103 pacjentów obserwowanych przez okres od 1 miesiąca do 20 lat ($M= 35 \pm 45$ miesięcy) (Shah i wsp, 2016) nie wykazało ani jednego przypadku niewydolności wątroby lub agranulocytozy. Jedynie 5,9% przerwało stosowanie omawianego leku. 57,72% pacjentów osiągnęło redukcję częstości napadów $\geq 50\%$, a 29.12% pełną remisję. Zdaniem autorów omawianej pracy felbamat jest skutecznym i dobrze tolerowanym lekiem. Podobne wyniki uzyskano w badaniu obejmującym 50 dzieci z oporną na leczenie padaczką (Levin i wsp, 2014).

Wymienionych powyżej rezultaty dwóch nowych badań, choć bez zastosowania grupy kontrolnej i randomizacji wspierają rekomendacje Amerykańskiej Akademii Neurologii z 1999 roku i skłaniają do podejmowania prób zastosowania (z odpowiednią ostrożnością) felbamatu w przypadkach, w których wykorzystano u pacjenta dostępne alternatywne metody leczenia lub istnieją przeciwwskazania do prowadzenia terapii z użyciem takich metod.

Lek Taloxa ma poważne działania niepożądane, stąd jest przeciwwskazany przy niedokrwistości aplastycznej i niewydolności wątroby. U leczonych pacjentów konieczna jest ocena wydolności wątroby oraz morfologii krwi – co 2 miesiące badanie transaminaz i morfologii krwi z rozmazem.

.....
Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości
prof. Michał Myśliwiec

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31e ustawy z dnia 27 sierpnia o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2015 r. poz. 581 z późn. zm.), w związku z art. 39 ust. 3 ustawy z dnia 12 maja 2012 roku o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2011 r., nr 122, poz. 696 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby zbadania zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego, raport nr OT.431.1.2016 „Taloxa (felbamat) we wskazaniach: padaczka, padaczka lekooporna, padaczka objawowa lekooporna, zespół Westa, padaczka miokloniczna Unverrichta-Lundborga”, 05 września 2016 r.