



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 85/2016 z dnia 8 sierpnia 2016 roku

w sprawie oceny leku Diacomit (styrypentol) kod EAN: 5909990017232, we wskazaniu: w skojarzeniu z klobazamem i walproinianem w terapii wspomagającej u pacjentów cierpiących na ciężką miokloniczną padaczkę niemowląt z uogólnionymi napadami toniczno-klonicznymi opornymi na leczenie klobazamem i walproinianem

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Diacomit (styrypentol) 250 mg, kapsułki, 60 sztuk, kod EAN 5909990017232, we wskazaniu: w skojarzeniu z klobazamem i walproinianem w terapii wspomagającej u pacjentów cierpiących na ciężką miokloniczną padaczkę niemowląt (severe myoclonic epilepsy of infancy [SMEI], zespół Dravet) z uogólnionymi napadami toniczno-klonicznymi opornymi na leczenie klobazamem i walproinianem, w ramach nowej grupy limitowej: „leki przeciwpadaczkowe do stosowania doustnego – styrypentol”, jako leku dostępnego w aptece na receptę za odpłatnością ryczałtową.*

*Warunkiem refundacji jest wprowadzenie instrumentu podziału ryzyka, w postaci cappingu (populacja zgodna z analizami przedstawionymi przez wnioskodawcę).*

#### **Uzasadnienie**

*Lek ma status leku sierocego i dotyczy choroby rzadkiej. W tej sytuacji dostępne wyniki badań można uznać za odpowiednio dokumentujące jego skuteczność. Przeprowadzona metaanaliza RCT STICLO Francja i Włochy wykazała, iż pacjenci stosujący terapię styrypentolem z walproinianem i klobazamem mają istotnie statystycznie większe prawdopodobieństwo uzyskania odpowiedzi na leczenie niż pacjenci leczeni placebo, walproinianem i klobazamem, zarówno oceniane względnie (ponad 10-krotnie większe), jak i bezwzględnie (o 63% większe). Wyniki badań otwartych potwierdzają skuteczność omawianego leku oraz akceptowalny poziom bezpieczeństwa jego stosowania. Zdaniem eksperta skuteczność innych leków w tłumieniu napadów padaczkowych w zespole Dravet jest niezadawalająca i ten lek powinien być jak najszybciej wprowadzony do użytku.*



*Trzy z czterech dostępnych rekomendacji refundacyjnych z innych krajów zawierają zastrzeżenia do efektywności kosztowej leku. Dwie są z tego powodu negatywne, a jedna warunkowa. Jedna rekomendacja pozytywna zawiera ograniczenia zakresu jego refundacji. Lek w większości przypadków będzie najprawdopodobniej stosowany przez wiele lat i liczba przyjmujących pacjentów będzie rosła. Warunkiem refundacji jest wprowadzenie instrumentu podziału ryzyka, w postaci cappingu (populacja zgodna z analizami przedstawionymi przez wnioskodawcę).*

.....  
Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości  
prof. Rafała Suwińskiego

**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 późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr OT.4350.11.2016 „Wniosek o objęcie refundacją leku Diacomit (styrypentol) we wskazaniu: w skojarzeniu z klobazamem i walproinianem w terapii wspomagającej u pacjentów cierpiących na ciężką miokloniczną padaczkę niemowląt z uogólnionymi napadami toniczno-klonicznymi opornymi na leczenie klobazamem i walproinianem”. Data ukończenia: 28 lipca 2016 r.