



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 80/2017 z dnia 31 lipca 2017 roku

w sprawie oceny leku Raxone (idebenon) kod EAN: 7640137910150,  
w ramach programu lekowego „Leczenie dziedzicznej neuropatii  
wzrokowej Lebera (LHON) (ICD-10 H47.2)”

*Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Raxone (idebenon), tabl. powł., 150 mg, 180 szt., kod EAN:7640137910150, w ramach programu lekowego „Leczenie dziedzicznej neuropatii wzrokowej Lebera (LHON) (ICD-10 H47.2)”.*

#### Uzasadnienie

*Problem zdrowotny, którego dotyczy wniosek jest znany. Część przypadków dziedzicznej neuropatii wzrokowej Lebera (LHON) pozostaje jednak nie zdiagnozowana i zakwalifikowana jako zanik nerwu wzrokowego o nieznanym etiologii. Jednym z zasadniczych kryteriów diagnostycznych jest stwierdzenie w DNA mitochondrialnym pacjenta mutacji, która może być przyczynowo-skutkowo wiązana z LHON. Brak jest możliwości przyczynowego leczenia choroby. Pacjenci poddani są systematycznej obserwacji i stosuje się u nich leczenie objawowe. Zwraca się również uwagę na odpowiednią profilaktykę oraz rehabilitację wzrokową. W ramach leczenia objawowego wykorzystywane są m. in. różnego typu suplementy diety. Do tej grupy zalicza się również idebenon. Jest to krótkołańcuchowy benzochinon, przeciwutleniacz, syntetyczny odpowiednik koenzymu Q10, zdolny przypuszczalnie do przenoszenia elektronów bezpośrednio na kompleks III mitochondrialnego łańcucha transportu elektronów, a tym samym do pominięcia kompleksu I i przywrócenia wytwarzania energii w komórkach (ATP) w sytuacji braku kompleksu I w warunkach doświadczalnych. Koenzym Q10 (ubichinon) jest organicznym związkiem chemicznym z grupy chinonów, występującym w mitochondriach komórek roślinnych i zwierzęcych. Jest składnikiem suplementów diety, dostępnych w Polsce.*

*Brak jest dowodów naukowych przemawiających za skutecznością wnioskowanej technologii w leczeniu LHON. W jedynym znanym prospektywnym, randomizowanym badaniu klinicznym nie wykazano różnic statystycznych pod względem efektów klinicznych w porównaniu populacji mITT*



*z grupą chorych otrzymującą placebo. Efekty istotne statystycznie obserwowano jedynie w subpopulacji chorych z wyjściową rozbieżnością w ostrości wzroku pomiędzy oczami  $>0,2$  logMAR. Wyniki te cechuje jednak duża niepewność, ze względu na znaczne zróżnicowanie indywidualnej ekspresji przebiegu choroby, różny wiek chorych i moment rozpoczęcia stosowania technologii w stosunku do czasu wystąpienia pierwszych objawów, możliwość występowania samoistnych remisji choroby, stosowanie w różnym zakresie i czasokresie leczenia objawowego, a także suplementów diety u poszczególnych chorych. Utrudnia to wnioskowanie dotyczące skuteczności działania idebenonu jako takiego.*

*Obecnie prowadzone są w Polsce badania w trzech ośrodkach, w ramach których polscy pacjenci mogą mieć dostęp do idebenonu.*

*Na podstawie analizy ekonomicznej wykazano, że wnioskowana technologia, przy proponowanej cenie zbytu i symbolicznym RSS, jest nieefektywna kosztowo, w stosunku do korzyści klinicznych.*

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

**Tryb wydania stanowiska**

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2016 r., poz. 1536 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr OT.4351.21.2017 „Wniosek o objęcie refundacją leku Raxone (idebenon), w ramach programu lekowego: »Leczenie dziedzicznej neuropatii wzrokowej Lebera (ICD-10 H47.22)«”. Data ukończenia: 21.07.2017 r.