



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

**Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 146/2017 z dnia 27 listopada 2017 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację Radicut
(edaravonum) we wskazaniu: stwardnienie zanikowe boczne**

Rada Przejrzystości uważa za niezasadne wydawanie zgód na refundację, w ramach importu docelowego, leku Radicut (edaravonum), roztwór do wstrzykiwań 30 mg / 20 ml we wskazaniu: stwardnienie zanikowe boczne.

Uzasadnienie

Substancja edaravonum (MCI-186) należy do tzw. zmiataczy wolnych rodników i została dopuszczona do obrotu w Japonii w roku 2001 w terapii ostrego udaru niedokrwinnego, a w roku 2015 - w leczeniu ALS (stwardnienie zanikowe boczne, ang. amyotrophic lateral sclerosis). Dnia 5 maja 2017 r. lek Radicava (edaravonum), roztwór do wstrzykiwań 30 mg / 100 ml, został zarejestrowany we wskazaniu stwardnienie zanikowe boczne przez amerykańską Agencję Żywności i Leków (FDA). Oceniany lek nie jest natomiast zarejestrowany w Unii Europejskiej. Jednocześnie, decyzjami Komisji Europejskiej nr EU/3/14/1399 z dnia 16 grudnia 2014 roku oraz nr EU/3/15/1510 z dnia 19 czerwca 2015 roku, produkt leczniczy Radicut (edaravonum) został wpisany na listę leków sierocych we wskazaniu stwardnienie zanikowe boczne.

Stwardnienie boczne zanikowe jest postępującą chorobą neurodegeneracyjną, o nieznanym etiologii i patogenezie prowadzącą do uszkodzenia górnego i dolnego neuronu ruchowego. Zapadalność, czyli liczba nowych zachorowań, w ciągu roku wynosi od 4-6 na 100 000 osób. W populacji polskiej można zatem ocenić liczbę chorych na około 2-3 tysiące.

Jedyną obecnie rekomendowaną interwencją w ramach farmakoterapii neuroprotektoryjnej (modyfikującej przebieg choroby) w ALS to riluzol, lek o udokumentowanej skuteczności w spowalnianiu progresji tej choroby (NICE 2016, EFNS 2012, AAN 2009, EALSCWG 2007, HAS 2005). Należy jednak zauważyć, że ze względu na datę rejestracji przez FDA w odnalezionych dokumentach nie ma zaleceń odnoszących się do wnioskowanej technologii.

W wyniku przeprowadzonego wyszukiwania analitycy Agencji odnaleźli 6 badań klinicznych II i III fazy. Nie wykazano znamienych statystycznie różnic na korzyść wnioskowanej technologii dla odsetka zgonów lub określonych



stanów progresji choroby. Znamiennych statystycznie różnic nie odnotowano także dla pozostałych, drugorzędowych punktów końcowych, tj. % FVC, zmodyfikowanej skali Norrisa, siły uścisku, siły szczypania i ALSQ40.

Dodatkowo z analizy klinicznej wynikają różne ograniczenia jak: badania przeprowadzono tylko w populacji azjatyckiej, miały relatywnie krótkie okresy obserwacji i dotyczyły pacjentów, którzy byli na wczesnym etapie ALS. Wnioskowanie na temat długoterminowego efektu terapeutycznego edaravonum było mocno ograniczone, ponieważ badanie było kontrolowane tylko przez 6 cykli, brak także badań porównujących riluzol z edaravonum, brak danych na temat długoterminowej skuteczności, bezpieczeństwa i compliance podawania edaravonum we wlewie dożylnym.

Szacunkowy koszt rocznej terapii dla pacjenta może wynosić 108 892,08 zł. Przy założeniu, że roczna liczebność populacji z ALS wynosi 584 pacjentów (na podstawie opinii eksperckich) roczny koszt refundacji produktu leczniczego Radicut wynosi ok. 63,59 mln zł. Ze względu na brak danych na temat ceny preparatu Radicut w ramach importu docelowego, powyższe oszacowania są obciążone znaczną niepewnością. Opinie ekspertów były negatywne, a Konsultant Krajowy w dziedzinie neurologii stwierdziła, że nie ma żadnych danych, że Radicut leczy chorych ze stwardnieniem zanikowym bocznym, dane dotyczące leczenia są niewystarczające i w chwili obecnej nie ma podstaw, żeby koszty terapii były pokrywane z funduszy publicznych.

Podsumowując, brak jest dowodów skuteczności klinicznej leku Radicut (edaravonum) we wnioskowanym wskazaniu oraz pełnej długoterminowej analizy bezpieczeństwa, niepewne są oszacowania wpływu leku Radicut na budżet – szacowany roczny koszt przekraczający 63 mln złotych.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2017 r., poz. 1938), w związku 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 2016 r. poz. 1536 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności wydawania zgody na refundację, raport nr OT.431.7.2017 „Radicut (edaravonum) we wskazaniu: stwardnienie zanikowe boczne”. Data ukończenia: 23 listopada 2017.