



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 153/2017 z dnia 11 grudnia 2017 roku  
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku  
Daraprim (pirymethaminum) we wskazaniach: toksoplazmoza  
wrodzona, toksoplazmoza oczna, toksoplazmoza OUN  
w przebiegu zakażenia HIV

*Rada Przejrzystości uważa za zasadne wydawanie zgód na refundację, w ramach importu docelowego, leku Daraprim (pirymethaminum), tabletki á 25 mg we wskazaniach: toksoplazmoza wrodzona, toksoplazmoza oczna, toksoplazmoza OUN w przebiegu zakażenia HIV.*

### Uzasadnienie

#### Problem kliniczny i terapeutyczny

*Toksoplazmoza spowodowana pierwotniakiem *Toxoplasma gondii* jest jedną z najczęstszych infekcji pasożytniczych u ludzi, dotykającą co najmniej połowy populacji ogólnej, która u osób immunokompetentnych kończy się odpornością śródzakaźną. Wskazania wg wniosku obejmują rzadko występujące postaci toksoplazmozy wymagające interwencji terapeutycznej. Toksoplazmoza wrodzona jest zazwyczaj skutkiem pierwszego kontaktu kobiety z pasożytem w okresie ciąży. Ryzyko zarażenia rośnie wraz z trwaniem ciąży, podczas gdy stopień nasilenia zmian patologicznych u płodu jest odwrotnie proporcjonalny do momentu ciąży, w którym doszło do zarażenia matki. Zakażenie w pierwszym trymestrze występuje rzadko, ale zwykle prowadzi do poronienia lub wewnątrzmacicznego obumarcia płodu. Zakażenie w drugim trymestrze skutkuje powstaniem ciężkich uszkodzeń rozwojowych dotyczących przede wszystkim ośrodkowego układu nerwowego. Zakażenie w późniejszym etapie ciąży prowadzi do rozwoju, nawet w wiele lat później, toksoplazmozy ocznej, której objawami są zapalenie gałki ocznej oraz rozwój trwałych ubytków w polu widzenia, niedowidzenia i ślepoty. Toksoplazmoza u pacjentów w przebiegu zakażenia HIV, wywołana upośledzeniem odporności i niekontrolowanym namnażaniem się pasożyta, powoduje niewydolność wielonarządową i zaburzenia neurologiczne.*



### Dowody naukowe

*Daraprim (pirymethaminum) jest stosowany w medycynie od roku 1953. W Polsce lek ten został zarejestrowany po raz pierwszy w roku 1977, a po raz ostatni w roku 2009 (Podmiotem odpowiedzialnym była firma GlaxoSmithKlinie). Wg ówczesnej charakterystyki produktu leczniczego wskazania do stosowania Daraprimu obejmowały leczenie w skojarzeniu z odpowiednim sulfonamidem malarii, oraz leczenie w skojarzeniu z sulfadiazyną lub innym odpowiednim sulfonamidem toksoplazmozy, w tym zakażeń ocznych, zakażeń wrodzonych oraz zakażeń u osób z niedoborem odporności. Obecnie lek ten nie jest w Polsce zarejestrowany. Aktualna charakterystyka leku Daraprim w kraju producenta (Wielka Brytania), jako wskazanie rejestracyjne, podaje tylko toksoplazmozę, włącznie z infekcjami ocznymi, potwierdzoną infekcją płodu w następstwie infekcji matczynej podczas ciąży i toksoplazmozę u pacjentów z niedoborami odporności, przy czym Daraprim musi być zawsze używany w kombinacji z synergistycznie działającym lekiem (np. z sulfadiazyną).*

### Problem ekonomiczny

*Kiedy Daraprim był w Polsce dostępny, jego cena w aptekach internetowych wynosiła od 8,25 do 37,24 zł za opakowanie zawierające 30 tabletek á 25 mg. Od czasu, gdy Daraprim przestał być zalecany w leczeniu malarii, jego ceny dynamicznie wzrastały. W roku 2015 (po nabyciu praw do marki przez szwajcarską firmę Turing Pharmaceuticals) cena za 1 tabletkę Daraprimu na rynku USA skokowo wzrosła z 13,5 do 750 USD.*

*Dane epidemiologiczne dotyczące występowania postaci toksoplazmozy wymagających leczenia produktami leczniczymi pirymethaminum i sulfadiazinum, oraz dane o dotychczasowym faktycznym użyciu produktu leczniczego Daraprim wskazują, że liczba pacjentów wymagających leczenia z powodu aktywnej postaci toksoplazmozy wynosić będzie ok. 125 rocznie.*

### Główne argumenty decyzji

*Nie jest znana inna technologia medyczna, która w przypadkach toksoplazmozy wymagających leczenia byłaby równie efektywna w dłuższym okresie, jak pirymetamina w terapii skojarzonej z sulfadiazyną. W wymagających leczenia postaciach toksoplazmozy powikłania związane z zastosowaniem Daraprimu i sulfadiazyny są mniej niebezpieczne dla pacjentów niż skutki nieleczonej aktywnej infekcji.*

**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 z późn. zm.), 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, raportów nr OT.4311.1.2017 i OT.4311.2.2017 „Daraprim (pirymethaminum) i Sulfadiazin-Heyl (sulfadiazinum) we wskazaniach: toksoplazmoza wrodzona, toksoplazmoza oczna, toksoplazmoza ośrodkowego układu nerwowego w przebiegu zakażenia HIV”. Data ukończenia: 7 grudnia 2017 r.