



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 164/2017 z dnia 18 grudnia 2017 roku

w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację Petnidan Saft, Petinimid, Zarontin (ethosuximidum) we wskazaniu: padaczka lekooporna (w tym padaczka z napadami nieświadomości)

Rada Przejrzystości uważa za zasadne wydawanie zgód na refundację leków Petnidan Saft (ethosuximidum), syrop, á 50 mg/ml, Petinimid (ethosuximidum), syrop, á 50 mg/ml, Zarontin (ethosuximidum), syrop, á 50 mg/ml we wskazaniu: padaczka lekooporna (w tym padaczka z napadami nieświadomości).

Uzasadnienie

Padaczka lekooporna jest rozpoznawana, jeśli dwie kolejne próby interwencji lekowych w monoterapii lub terapii dodanej nie doprowadzą do osiągnięcia utrwalonej i pełnej kontroli objawów. W krajach rozwiniętych roczną zapadalność szacuje się na poziomie 50-70 osób na 100 tys., a wskaźnik rozpowszechnienia wynosi ok. 1%. W Polsce padaczka dotyczy 260-400 tys. osób, w tym lekooporność występuje u ok. 120-130 tys. chorych. Produkty lecznicze zawierające etosuksymid nie posiadają ważnego pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w ocenianym wskazaniu na terenie Rzeczypospolitej Polskiej, dlatego mogą być stosowane jedynie w ramach ścieżki importu docelowego.

Rekomendacje kliniczne (PTND 2013, NICE 2012, 2016) przewidują wśród leków trzeciego rzutu w leczeniu napadów nieświadomości politerapie, których składnikiem jest m. in. etosuksymid. Rekomendacje refundacyjne (NICE 2012, HAS 2012) zalecają finansowanie terapii etosuksymidem u dzieci w leczeniu padaczki w I linii monoterapii lub leczeniu skojarzonym. Zdaniem ekspertów klinicznych etosuksymid w syropie jest podstawowym lekiem stosowanym w leczeniu napadów nieświadomości zwłaszcza u dzieci. W roku 2013 Rada Przejrzystości uznała za zasadne finansowanie etosuksymidu u dzieci do 3 r.ż. chorujących na padaczkę z napadami nieświadomości w ramach wskazań innych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego.

Analiza kliniczna w zakresie skuteczności leczenia w padaczce lekoopornej jest ograniczona, z powodu niewielkiej liczby dowodów dotyczących stosowania etosuksymidu we wnioskowanym wskazaniu. W przeglądzie Cochrane



(Brigo 2017) z włączonych czterech badań dotyczących etosuksymidu większość obejmowała pacjentów nowozdiagnozowanych i wcześniej nieleczonych. Jedynie w badaniu Sato (z 1982 r.) porównującym skuteczność etosuksymidu i walproinianu (stosowanych w monoterapii), część z włączonych pacjentów stanowili pacjenci uprzednio nieskutecznie leczeni na napady nieświadomości. Dostępne dowody niskiej jakości wskazują jednak na skuteczność etosuksymidu we wnioskowanym wskazaniu. Działania niepożądane związane ze stosowaniem etosuksymidu były zazwyczaj łagodne i reagowały na zmniejszenie dawki leku, zatem profil bezpieczeństwa należy uznać za akceptowalny.

W latach 2016-2017 sprowadzono łącznie 971 opakowań leków zawierających etosuksymid w postaci syropu 50 mg/ml w opakowaniu 250 ml za łączną kwotę 144 840 zł. Uproszczona analiza wpływu na budżet wskazuje na niewielkie obciążenia dla płatnika publicznego. Należy podkreślić, że brak bezpośredniej dostępności ocenianych preparatów (w postaci syropu) jest znaczną uciążliwością w leczeniu chorych na padaczkę lekooporną.

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 na potrzeby oceny zasadności wydawania zgody na refundację, raport nr OT.4311.15.2017 „Petnidan Saft (ethosuximidum), syrop, á 50 mg/ml, Petinimid (ethosuximidum), syrop, á 50 mg/ml, Zarontin (ethosuximidum), syrop, á 50 mg/ml we wskazaniu: padaczka lekooporna (w tym padaczka z napadami nieświadomości)”. Data ukończenia: 14 grudnia 2017.