



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 36/2018 z dnia 9 kwietnia 2018 roku

w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku Proglycem (diazoxide) we wskazaniach: hipoglikemia insulinemiczna, hipoglikemia nieokreślona, wyspiak trzustki, zespół hipoglikemia-hiperamonemia, zespół MEN2, zespół Beckwitha-Wiedemanna, hiperinsulinizm rodzinny, hipoglikemia leucynowrażliwa

Rada Przejrzystości uważa za zasadne wydawanie zgód na refundację leku Proglycem (diazoxide), kapsułki á 25 mg oraz 100 mg, we wskazaniach: hipoglikemia insulinemiczna, hipoglikemia nieokreślona, wyspiak trzustki, zespół hipoglikemia-hiperamonemia, zespół MEN2, zespół Beckwitha-Wiedemanna, hiperinsulinizm rodzinny, hipoglikemia leucynowrażliwa.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Minister Zdrowia, na podstawie art. 39 ust. 3 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2017 r., poz. 1844r. z późn. zm.), zlecił Agencji zbadanie zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego Proglycem (diazoxide), kapsułki á 25 mg oraz 100 mg w 8 wskazaniach:

- *hipoglikemia insulinemiczna,*
- *hipoglikemia nieokreślona,*
- *wyspiak trzustki,*
- *zespół hipoglikemia-hiperamonemia,*
- *zespół MEN2,*
- *zespół Beckwitha-Wiedemanna,*
- *hiperinsulinizm rodzinny*
- *hipoglikemia leucynowrażliwa.*

Rada dwukrotnie w przeszłości zajmowała pozytywne stanowisko odnośnie importu docelowego diazoxidu.

Wszystkie osiem, wymienione wskazania należą do rzadkich stanów patologicznych.



Hipoglikemia hiperinsulinemiczna (HH) to wspólny termin dla określenia stanu chorobowego spowodowanego różnymi przyczynami. Najważniejszą przyczyną zaburzeń hipoglikemicznych u niemowląt i dzieci jest wrodzony hiperinsulinizm (CHI), który jest zazwyczaj trwały. CHI, wcześniej nazywany pierwotnym przerostem komórek wysp trzustkowych (nesidioblastosis) lub przetrwałą hipoglikemią hiperinsulinemiczną u niemowląt (PHHI), jest najczęstszą przyczyną przewlekłej hipoglikemii u niemowląt. Częstość CHI w północnej populacji europejskiej wynosi około 1:30 000-50 000 żywych urodzeń, w większości przypadków CHI została opisana jako sporadyczne.

Hipoglikemia powoduje poważne następstwa neurologiczne, takie jak opóźnienie psychoruchowe, braki poznawcze i padaczka. Są one zwykle spowodowane długotrwałą i/lub nawracającą hipoglikemią w okresie noworodkowym. Przebieg CHI jest łagodniejszy u niemowląt niż u noworodków, które gorzej tolerują hipoglikemie.

Zespół hiperinsulinemia-hiperamonemia (HI/HA) jest rzadką chorobą genetyczną spowodowaną aktywacją mutacji *GLUD1*, genu dehydrogenazy glutaminianowej (GDH). Częstość występowania wszystkich guzów neuroendokrynych trzustki szacuje się na 4-12 na 1 000 000 populację. Niektóre z powyższych nowotworów są charakterystyczne dla trzustki (guzy insulinowe), a inne, np. guzy gastrynowe, występują częściej w dwunastnicy niż w trzustce. W ok. 90 % przypadków guzy insulinowe trzustki mają postać łagodną.

Dowody naukowe

Diazoksyd jest standardowym, skutecznym lekiem stosowanym w hipoglikemii, hamującym sekrecję insuliny. Ponadto, działa hiperglikemizująco poprzez zwiększenie sekrecji adrenaliny oraz glukoneogenezę. Aktualnie brak jest alternatywnych technologii leczenia hipoglikemii.

Problem ekonomiczny

W latach 2016-2017 sprowadzono do kraju Proglicem na łącznie kwotę 502 955 zł. Wobec braku istotnych zmian epidemiologii ww. stanów hipoglikemicznych należy spodziewać się podobnego poziomu wydatków w kolejnych dwóch latach.

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 zbadania zasadności wydawania zgody na refundację, raport nr OT.4311.5.2018, „Proglicem (diazoxide) we

wskazaniach: hipoglikemia insulinemiczna, hipoglikemia nieokreślona, wyspiak trzustki, zespół hipoglikemia-hiperamonemia, zespół MEN2, zespół Beckwitha-Wiedemanna, hiperinsulinizm rodzinny, hipoglikemia leucynowrażliwa”, data ukończenia: 5 kwietnia 2018