



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 63/2018 z dnia 18 czerwca 2018 roku

w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku Arginine Veyron (arginine hydrochloride) w różnych wskazaniach

Rada Przejrzystości uważa za zasadne wydawanie zgód na refundację leku Arginine Veyron (arginine hydrochloride), syrop á 3 g/ 15 ml, we wskazaniach: drgawki pirydoksynozależne, heteroplazmia – objawy zespołu MELAS, zespół MELAS, zaburzenia cyklu mocznikowego – deficyt OTC, zaburzenia cyklu mocznikowego – cytrulinemia typu I.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Pismem z dnia 26.03.2018 r., 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. 1844 z późn. zm.) zlecił zbadanie zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego: Arginine Veyron (arginine hydrochloride), syrop á 3 g/15 ml we wskazaniach: drgawki pirydoksynozależne; heteroplazmia – objawy zespołu MELAS; zespół MELAS; zaburzenia cyklu mocznikowego – deficyt OTC; zaburzenia cyklu mocznikowego – cytrulinemia typu I.

Dowody naukowe

Ograniczonej jakości badania naukowe wskazują na skuteczność interwencji w zespole MELAS. Brak badań populacyjnych i randomizowanych w literaturze wynika z bardzo niskiej liczby zachorowań, a skuteczność leczenia arginina prezentowana w pracach monograficznych oraz w opinii konsultanta krajowego jest znaczna. W opinii konsultanta krajowego w dziedzinie pediatrii metabolicznej arginina ma zastosowanie we wszystkich przedmiotowych wskazaniach.

Problem ekonomiczny

Wnioski refundacyjne dotyczą 6-7 osób rocznie, w wyżej wymienionych wskazaniach, a roczny koszt terapii jest stosunkowo niski. Z uwagi na brak danych o populacji docelowej, niemożliwe jest oszacowanie wpływu sfinansowania przedmiotowej technologii w ramach importu docelowego



na wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorców.

Główne argumenty decyzji

Wymienione wskazania dotyczą chorób rzadkich/ultrarzadkich. Stosowanie argininy jest w tym przypadku interwencją o potwierdzonej skuteczności praktycznej. Koszt interwencji dla płatnika publicznego jest niski.

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 nr: OT.4311.20.2018 „Arginine Veyron (arginine hydrochloride) we wskazaniach: drgawki pirydoksynozależne; heteroplazmia – objawy zespołu MELAS; zespół MELAS; zaburzenia cyklu moczniowego – deficyt OTC; zaburzenia cyklu moczniowego – cytrulinemia typu I”.
Data ukończenia: 06 czerwca 2018 r.