



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

**Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 81/2018 z dnia 20 sierpnia 2018 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku
Austedo (deutetrabenazinum) we wskazaniu: choroba Huntingtona**

Rada Przejrzystości uważa za niezasadne wydawanie zgód na refundację leku Austedo (deutetrabenazinum) we wskazaniu: choroba Huntingtona.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Pismem z dnia 17.05.2018 r. Minister Zdrowia na podstawie art. 39 ust. 3 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych zlecił zbadanie zasadności wydawania zgód na refundację produktu leczniczego: Austedo (deutetrabenazine), tabletki à 9 mg we wskazaniu: choroba Huntingtona. Stanowisko Rady Przejrzystości oraz Prezesa AOTM z 2012 roku w stosunku do komparatora – tetrabenazyny były negatywne. W chwili obecnej tetrabenazyna jest jednak objęta refundacją.

Choroba Huntingtona (inaczej płąsawica Huntingtona) to schorzenie ośrodkowego układu nerwowego dziedziczona w sposób autosomalny dominujący, charakteryzujące się występowaniem otępienia, zaburzeń osobowości i ruchów płąsawicznych. Przebieg choroby jest powolny, postępujący. Dominują zaburzenia ruchowe, mogą także występować depresja i napady padaczkowe. Z czasem pojawiają się zaburzenia mowy i połykania oraz zaburzenia snu. Chory staje się całkowicie uzależniony od otoczenia. Chorzy przeżywają 15-20 lat od początku choroby.

Nie jest znane leczenie, które wpływałoby na naturalny przebieg choroby, próby uzupełniania niedoborów kwasu GABA przez zastosowanie związków naśladujących działanie GABA lub blokujących metabolizm GABA okazały się nieskuteczne. Leki przeciwdepresyjne stosowane są w objawowym leczeniu depresji, klasyczne i atypowe neuroleptyki (np. kłozapina i kwetiapina) w objawowej terapii psychoz. Ruchu płąsawicze można zmniejszyć stosując neuroleptyki (haloperidol, perfenazynę), związki blokujące receptor dopaminergiczny oraz związki usuwające dopaminę z zakończeń nerwowych (rezerpina, tetrabenazyna). Ze względu na ryzyko wywołania późnych dyskinez



leki blokujące receptor dopaminergiczny stosowane są mniej chętnie niż leki usuwające dopaminę z zakończeń presynaptycznych. Stosowanie tych leków oraz stała opieka pozwalają w początkowym okresie choroby na prowadzenie leczenia w domu. W zaawansowanym stadium choroby konieczne jest leczenie psychiatryczne w warunkach szpitalnych.

Dowody naukowe

Lek jest modyfikacją dostępnej od lat 50 substancji tetrabenazyny. Jego biodostępność jest lepsza co pozwala na ograniczenie dawkowania w stosunku do komparatora. Lek został zarejestrowany w 2017 roku. Prace nad jego skutecznością są w toku i tylko nieliczne dowody naukowe o ograniczonej jakości doczekały się publikacji, wskazując na prawdopodobnie porównywalną skuteczność w i jednocześnie korzystny efekt zmniejszenia dawki, w postaci istotnego ograniczenia poważnych działań niepożądanych w porównaniu z tetrabenazyną. Brak jest jednak bezpośrednich badań porównawczych z aktywnym komparatorem. Lek nie jest rekomendowany do stosowania nigdzie na świecie.

Problem ekonomiczny

Zdaniem specjalisty krajowego liczba chorych na chorobę Huntingtona w Polsce to ok. 1 000. Z tej grupy ok 20% z chorych leczonych dotychczas refundowaną tetrabenazyną może wymagać zmiany sposobu leczenia.

Lek jest wielokrotnie droższy w stosunku do jego komparatora i jego refundacja może spowodować bardzo duży wzrost rocznych wydatków płatnika publicznego

Tańszy produkt o podobnych efektach klinicznych i farmakodynamicznych z grupy inhibitorów VMAT2, podawany raz na dobę, jest w trakcie rejestracji.

Główne argumenty decyzji

Brak jest w chwili obecnej dobrej jakości dowodów naukowych, potwierdzających zwiększenie skuteczności leczenia, w porównaniu z obecnie stosowanym. Podawanie leku powoduje prawdopodobnie ograniczenie częstości występowania niektórych działań niepożądanych – brak jest jednak bezpośredniego porównania z komparatorem. Cena leku jest kilkudziesięciokrotnie wyższa od obecnie refundowanego preparatu. Jego stosowanie w chwili obecnej powinno być zatem ograniczone wyłącznie do bardzo dobrze udokumentowanych przypadków poważnej nietolerancji tetrabenazyny.

.....
Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości
Prof. Piotr Szymański

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 2018 r., poz.1510.), 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 produktu leczniczego, raport nr OT.4311.25.2018 „Austedo (deutetrabenazinum) we wskazaniu: choroba Huntingtona”, 14 sierpnia 2018 r.