



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 116/2018 z dnia 13 listopada 2018 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku
Syprine (trientine) we wskazaniu: choroba Wilsona

Rada Przejrzystości uważa za zasadne wydawanie zgód na refundację leku Syprine (trientine), kapsułki á 250 mg, we wskazaniu: choroba Wilsona.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Choroba Wilsona jest rzadką chorobą metaboliczną wynikającą z zaburzonego metabolizmu miedzi, które prowadzi do uszkodzenia OUN i wątroby. W leczeniu stosuje się preparaty hamujące wchłanianie miedzi w przewodzie pokarmowym: (penicylamina i preparaty cynku). Trientine (trietylotetramina) stosowana jest zaledwie u ok. 1% wszystkich chorych, którzy nie tolerują penicylaminy i u których preparaty cynku są nieskuteczne.

Dowody naukowe

Dowody, pochodzące z długoletnich obserwacji leczonych chorych i jednego badania randomizowanego, wskazują na skuteczność i bezpieczeństwo tej terapii.

Problem ekonomiczny

Znikomy, z uwagi na małą liczbę pacjentów. W latach 2016-2018 sprowadzono do RP w ramach importu docelowego 9 opakowań (900 tabl. leku).

Główne argumenty decyzji

Lek jest skuteczny i odpowiada na niezaspokojoną potrzebę medyczną, a jego wpływ na budżet NFZ jest znikomy.

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, 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.4311.28.2018 „Syprine (trientine) we wskazaniu: choroba Wilsona”. Data ukończenia: 17 październik 2018 r.