



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 122/2018 z dnia 19 listopada 2018 roku  
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku  
Ferriprox (deferipronum) we wskazaniu: neurodegeneracja  
z odkładaniem żelaza w mózgu

*Rada Przejrzystości uważa za zasadne wydawanie zgód na refundację leku Ferriprox (deferipronum), tabletki powlekane à 500 mg, we wskazaniu: neurodegeneracja z odkładaniem żelaza w mózgu.*

### Uzasadnienie

#### Problem decyzyjny

*Neurodegeneracja z akumulacją żelaza (NBIA) to grupa chorób, charakteryzujących się nadmiernym odkładaniem żelaza w mózgu. Objawy zależnie od typu NBIA mogą się rozpoczynać w różnym wieku - od dzieciństwa do nawet czwartej dekady życia. Szacowana częstość występowania wynosi 1-3 na 1.000.000. Rozpoznanie ustalane jest na podstawie badania genetycznego i rezonansem magnetycznym. Leczenie jest jedynie objawowe. W klasycznej postaci choroby okres przeżycia może wynosić od jednego do kilku lat, a w przypadku postaci atypowych choroba zazwyczaj postępuje powoli przez wiele lat. Produkt leczniczy Ferriprox nie jest zarejestrowany w Polsce, ale jest dopuszczony do obrotu w krajach Unii Europejskiej i posiada status leku sierocego we wnioskowanym wskazaniu (nr EU: EU/3/18/2034).*

#### Dowody naukowe

*Nieliczne dostępne badania niskiej jakości sugerują, że deferypron może stabilizować (Cossu 2014 i Abruzzese 2011) lub poprawiać stan neurologiczny pacjenta (Rohani 2017). Dane z 12-miesięcznej oraz 4-letniej obserwacji wskazują na bezpieczeństwo stosowania deferypronu jako chelatora żelaza w NBIA, należy jednak zwrócić szczególną uwagę na ryzyko agranulocytozy. Na stronie [clinicaltrials.gov](http://clinicaltrials.gov) zamieszczono informacje dotyczące badania o akronimie TIRCON – badanie RCT, podwójnie zaślepione, porównujące deferypron z placebo, przeprowadzone u pacjentów z neurodegeneracją związaną z kinazą pantotenianową (nr NCT 01741532). Badanie to oznaczono jako zakończone, jednak na stronie brak opublikowanych wyników. Zgodnie z konsensusem odnośnie postępowania w leczeniu zaleca się suplementację*



witaminą B5, stosowanie środków chelatujących żelazo (w tym deferypronu), oraz leczenie łagodzące objawy choroby, przy czym brak przekonujących dowodów odnośnie korzyści klinicznych, takich jak: lepsza ocena neurologiczna, poprawa jakości życia i sprawności (Hogarth 2017). Zdaniem eksperta klinicznego Ferriprox jest pierwszym produktem leczniczym, który zwalnia proces progresji choroby.

#### Problem ekonomiczny

Z informacji otrzymanych od MZ wynika, że w latach 2016-2018 większość wniosków o refundację w ramach importu docelowego produktu leczniczego Ferriprox zostało rozpatrzonych pozytywnie. Biorąc pod uwagę rzadkość występowania choroby i cenę leku obciążenie dla płatnika publicznego będzie niewielkie.

W toku prac analitycznych zidentyfikowano lek generyczny Deferiprone Lipomed (deferypron) tabletki powlekane à 500 mg (EMA/553501/2018, EMEA/H/C/004710). Produkt leczniczy Deferiprone Lipomed jest zarejestrowany do stosowania w leczeniu nadmiaru żelaza u pacjentów z talasemią typu major.

#### Główne argumenty decyzji

Dostępne dowody naukowe wskazują, że deferypron może być korzystną i bezpieczną opcją terapeutyczną w leczeniu objawów neurologicznych związanych z neurodegeneracją w wyniku odkładania żelaza w mózgu, szczególnie u pacjentów we wczesnym stadium choroby. Rzadkość choroby nie niesie ryzyka znacznego obciążenia płatnika publicznego.

#### **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 zbadania zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego, raport nr: OT.4311.30.2018 „Ferriprox (deferypron) tabletki powlekane à 500 mg we wskazaniu neurodegeneracja z odkładaniem żelaza w mózgu”. Data ukończenia: 14 listopada 2018 r.