



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

**Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 110/2018 z dnia 5 listopada 2018 roku
w sprawie oceny leku Vyndaqel (tafamidis) w ramach programu
lekowego: „Leczenie rodzinnej transtyretynowej polineuropatii
amyloidowej (TTR-FAP) (ICD 10 E85.1)”**

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Vyndaqel (tafamidis), kapsułki miękkie, 20 mg, 30 kapsułek, kod EAN: 5909990919833, w ramach programu lekowego „Leczenie rodzinnej transtyretynowej polineuropatii amyloidowej (TTR-FAP) (ICD 10 E85.1)”, w ramach nowej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie. Jednocześnie, z uwagi na dużą niepewność populacji leczonych chorych, Rada uważa za zasadne wprowadzenie RSS, polegającego na ograniczeniu kwoty przeznaczonej na leczenie tych pacjentów (capping).

Rada nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Pismem z dnia 21.08.2018 r., znak PLR.4600.744.2018.14.IS (data wpływu do AOTMiT 21.08.2018 r.) Minister Zdrowia zlecił przygotowanie analizy weryfikacyjnej AOTMiT, stanowiska Rady Przejrzystości oraz rekomendacji Prezesa AOTMiT na zasadzie art. 35 ust. 1 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2017 r. poz. 1844, z późn. zm.) w przedmiocie objęcia refundacją produktu leczniczego: „Vyndaqel (tafamidis), kapsułki miękkie, 20 mg, 30 kapsułek, kod EAN: 5909990919833, w ramach programu lekowego „Leczenie rodzinnej transtyretynowej polineuropatii amyloidowej (TTR-FAP) (ICD-10 E85.1)”.

Dowody naukowe

Rejestracja produktu leczniczego Vyndaqel (tafamidis) oparta była na wynikach wielośrodkowego międzynarodowego badania z randomizacją (Fx-005), w którym oceniano efektywność kliniczną i bezpieczeństwo stosowania tafamidisu w porównaniu z placebo u chorych z rodzinną transtyretynową polineuropatią amyloidową (TTR-FAP). Do badania włączano chorych w I stadium choroby (tj. chodzących samodzielnie) co znalazło właściwe



odzwierciedlenie w zapisach proponowanego programu lekowego. Wyniki tego badania wskazują, że stosowanie tafamidisu znacząco spowalnia postęp choroby, w tym zwłaszcza upośledzenie sprawności kończyn dolnych oraz spadek masy ciała, czego miarą jest stabilizacja lub poprawa parametru mBMI. Badanie to posiada jednak istotne ograniczenia, gdyż znamiennej statystycznie odpowiedź na leczenie uzyskano wyłącznie przy uwzględnieniu analiz, które nie były analizami zgodnymi z intencją leczenia (ITT analysis). Tylko w ocenie bezpieczeństwa zastosowano regułę analizy ITT. Ponadto, do badania Fx-005 włączono wyłącznie chorych z mutacją Val30Met, podczas gdy proponowany program lekowy zakłada włączenie chorych także z innymi mutacjami.

Ocena skuteczności leku tafamidis, w populacji zbliżonej do proponowanej w programie lekowym (tj. z uwzględnieniem mutacji innych niż Val30Met), była przedmiotem kilku badań jednoramiennych, których wyniki sugerują aktywność leku również w przypadku innych mutacji. Wiarygodność wyników tych badań jest jednak ograniczona z uwagi na brak grupy kontrolnej.

Tolerancja leczenia tafamidisem jest zadowalająca: odnotowane w badaniach zdarzenia niepożądane były głównie o łagodnym lub umiarkowanym nasileniu.

Problem ekonomiczny

Rodzinna transtyretynowa polineuropatia amyloidowa jest uważana za chorobę ultra-rzadką: szacuje się, że w Polsce chorobą tą dotkniętych jest kilka rodzin, lecz liczba ta najprawdopodobniej nie oddaje rzeczywistej liczby chorych, którzy wciąż czekają na diagnozę. Eksperti nie są zgodni co do tego, jak duża populacja chorych spełniałaby kryteria włączenia do programu: szacowana przez nich liczba chorych, mogących być w ciągu roku włączona do programu, waha się od jednej do kilkunastu osób. Nie ma jednak pewności, czy poprawa dostępności badań genetycznych genu TTR nie spowoduje znaczącego wzrostu potencjalnych beneficjentów programu. Koszt leczenia preparatem tafamidis jest bardzo wysoki i stosowanie wnioskowanej technologii w miejsce komparatora

, bez względu na perspektywę analizy.

. Ponadto, pomimo potencjalnie niewielkiej liczby chorych mogących kwalifikować się do programu spodziewane obciążenia dla budżetu płatnika publicznego są znaczące. Ponieważ populacja chorych, mogących być włączona do programu, jest trudna do oszacowania RSS powinien chronić płatnika publicznego przed niekontrolowanym wzrostem wydatków związanych z większą niż szacowana przez wnioskodawcę liczbą chorych włączanych do programu.

Główne argumenty decyzji

Stosowanie produktu leczniczego Vyndaqel (tafamidis) u chorych z rodzinną transtyretynową polineuropatią amyloidową stanowi jedyną farmakologiczną opcję terapeutyczną o zadowalająco udokumentowanej skuteczności. Lek przyczynia się do hamowania progresji choroby. Jednocześnie, uzyskiwany, dzięki stosowaniu produktu leczniczego Vyndaqel (tafamidis), efekt terapeutyczny jest stosunkowo niewielki i nieadekwatny do prognozowanych kosztów leczenia tym preparatem, pomimo uwzględnienia proponowanego RSS.

Z tych powodów Rada przyjęła stanowisko jak wyżej.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 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 analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr: OT.4331.33.2018 „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu produktu leczniczego Vyndaqel (tafamidis) w ramach programu lekowego: »Leczenie rodzinnej transtyretynowej polineuropatii amyloidowej (TTR-FAP) (ICD 10 E85.1)«, data ukończenia: 25 października 2018 oraz erraty do analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr OT.4331.33.2018.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone kolorem żółtym stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Pfizer Polska Sp. z o.o.).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Pfizer Polska Sp. z o.o. o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

Podstawa prawna wyłączenia jawności: art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2014, poz. 782 z późn. zm.) w zw. z art. 11 ust. 4 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2003 r., Nr 153, poz. 1503 z późn. zm.).

Organ dokonujący wyłączenia jawności: Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji.

Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Pfizer Polska Sp. z o.o.