



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 287/2018 z dnia 5 listopada 2018 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Cystagon (merkaptamina) we wskazaniu: cystynoza nefropatyczna (ICD-10: E72.0)

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Cystagon (mercaptopaminum), kapsułki twarde á 150 mg, we wskazaniu: cystynoza nefropatyczna (ICD10: E72.0).

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Cystynoza jest dziedzicznym schorzeniem lizosomalnym, związanym z obecnością mutacji genu CTNS, zlokalizowanego na chromosomie 17, kodującego produkcję cystynozyny, białka odpowiedzialnego za transport cystyny przez błonę lizosomalną. Z powodu defektu dochodzi do odkładania się złogów wolnej cystyny w tkankach wielu narządów m.in. nerek, oka, tarczycy, trzustki oraz w fibroblastach. Nieleczona choroba prowadzi do ciężkich powikłań wielonarządowych w tym do schyłkowej niewydolności nerek, ślepoty, chorób płuc czy kardiomiopatii.

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Dowody na skuteczność kliniczną merkaptaminy pochodzą z badań niskiej jakości obejmujących: badań nierandomizowanych (Clark 1992, Gahl 1987, Markello 1993, Theodoropoulos 1993, Kimonis 1995, van't Hoff 1995, Gahl 2007, Vaisbich 2010, Greco 2010, Brodin-Sartorius 2011) oraz opisów przypadków (Proesmans 1987, Reznik 1991, Kleta 2004, DaSilva 1985, Midgley 2011). Dostępne dane wskazują, że stosowanie merkaptaminy powoduje spowolnienie postępu zmian w nerkach, utrzymywanie klirensu kreatyniny na stałym poziomie a także zmniejszenia poziomu cystyny. Zdaniem ekspertów poproszonych o opinię w przedmiotowej sprawie, merkaptamina charakteryzuje się dobrą skutecznością, zapobiega niewydolności nerek, a stosowana od okresu dziecięcego umożliwia prawidłowy rozwój fizyczny.



Bezpieczeństwo stosowania

Zgodnie z Charakterystyką Produktu Leczniczego Cystagon do działań niepożądanych występujących bardzo często ($\geq 1/10$) należą: wymioty, nudności, biegunka, anoreksja, letarg i gorączka.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Produkt leczniczy Cystagon zawierający merkaptaminę (cysteaminę) jest lekiem z wyboru w leczeniu cystynozy. Jego dobra skuteczność kliniczna i względnie niewielkie działania niepożądane powodują, że korzyści zdrowotne przekraczają ryzyko jego stosowania.

Konkurencyjność cenowa

W chwili obecnej we wnioskowanym wskazaniu zarejestrowany jest inny preparat merkaptaminy jednakże jego koszt jest wyższy w porównaniu do ocenianej technologii. Trzymiesięczne leczenie pojedynczego pacjenta rekomendowanymi dawkami Cystagonu wiąże się z kosztami około [REDAKTOWANE].

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

Koszt 3 miesięcznego leczenia z użyciem wnioskowanej technologii wynosi około [REDAKTOWANE]. Biorąc pod uwagę liczebność populacji docelowej, która według Rejestru Uwarunkowanych Genetycznie Tubulopatii (POLtube) wynosi 14 osób, można założyć, że łączny koszt trzymiesięcznej terapii wyniesie około [REDAKTOWANE].

Alternatywna technologia medyczna, w rozumieniu ustawy o świadczeniach, oraz jej efektywność kliniczna i bezpieczeństwo stosowania

W odnalezionych rekomendacjach dotyczących leczenia cystynozy (wytyczne hiszpańskie (2015) i europejskie (2014)) wskazuje się na merkaptaminę, jako jedyny środek stanowiący podstawę terapii choroby i nie ma dla niej technologii alternatywnej, możliwej do zastosowania, poza paliatywnym leczeniem objawowym.

Dodatkowe uwagi Rady

Rada stoi na stanowisku, że należy rozstrzygnąć powrót do przerwanoego programu lekowego.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt. 4 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2018 r., poz. 1510, z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, nr: OT.422.43.2018 „Cystagon (merkaptamina) we wskazaniu: cystynoza nefropatyczna (ICD-10: E72.0)”. Data ukończenia: 31 października 2018 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Orphan Europe SARL).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Orphan Europe SARL 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 2016, poz.1764 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: Orphan Europe SARL