



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 130/2018 z dnia 10 grudnia 2018 roku

w sprawie oceny leku Fabrazyme (agalzydaza beta) w ramach programu lekowego: „Leczenie choroby Fabry’ego (ICD-10: E75.2)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktów leczniczych:

- *Fabrazyme (agalzydaza beta), proszek do przygotowania koncentratu do sporządzania roztworu do infuzji, 5 mg, 1, fiol., kod EAN: 5909990013654,*
- *Fabrazyme (agalzydaza beta), proszek do przygotowania koncentratu do sporządzania roztworu do infuzji, 35 mg, 1, fiol., kod EAN: 5909990971213,*

w ramach jednego programu lekowego dla wszystkich objętych finansowaniem ze środków publicznych technologii lekowych o tytule: „Leczenie choroby Fabry’ego (ICD-10 E75.2)”; w ramach jednej grupy limitowej dla wszystkich technologii lekowych finansowanych ze środków publicznych wykorzystywanych w leczeniu choroby Fabry’ego i wydawanie ich bezpłatnie.

Rada Przejrzystości nie akceptuje propozycji instrumentu dzielenia ryzyka (RSS) i uznaje za zasadne finansowanie technologii, pod warunkiem jego znacznego pogłębienia oraz zastosowania mechanizmu ograniczania wydatków płatnika publicznego (cappingu).

Rada uznaje za zasadne wprowadzenie w zaproponowanym opisie programu lekowego następujących zmian:

- *zamiast zapisu „po zakwalifikowaniu pacjenta do leczenia i refundacji, weryfikacja skuteczności leczenia odbywa się po pierwszych 6 miesiącach, a następnie co 12 miesięcy od rozpoczęcia leczenia w programie [...]” zapis: „po zakwalifikowaniu pacjenta do programu, weryfikacja skuteczności leczenia odbywa się co 6 miesięcy”;*
- *doprecyzowanie wieku, od którego będzie mógł być włączony pacjent, dla wszystkich leków w proponowanym programie;*
- *konieczność precyzyjnego określenia kryteriów wyłączenia chorych z programu.*



Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Choroba Fabry'ego jest chorobą lizosomalną dziedziczną recesywnie w sprzężeniu z chromosomem X, spowodowaną niedoborem enzymu lizosomalnego alfa-galaktozydazy A. Niedobór tego enzymu prowadzi do gromadzenia (spichrzenia) glikosfingolipidów w tkankach i płynach ustrojowych, tj. globotriaosyloceramidu (oznaczonego symbolem Gb3 lub GL-3, zwanego również triheksozydem ceramidu (CTH)), substratu glikosfingolipidowego dla α -galaktozydazy A. Wyróżnia się postać klasyczną choroby (brak aktywności enzymu) oraz postać nie-klasyczną, w której symptomy pojawiają się w późniejszym okresie i dotyczą głównie jednego organu.

Dowody naukowe

Chorobę Fabry'ego leczy się przyczynowo oraz objawowo. Leczenie objawowe opiera się na doraźnej terapii niewydolności narządów, które zostały uszkodzone w przebiegu choroby. Leczenie przyczynowe polega na prowadzeniu enzymatycznej terapii zastępczej (ang. enzyme replacement therapy, ERT), czyli podawaniu rekombinowanego analogu naturalnego enzymu we wlewie dożylnym, co dwa tygodnie. Leczenie pozwala przede wszystkim na spowolnienie postępu choroby, a w części przypadków prowadzi do ustępowania niektórych objawów. W Europie dostępne są dwa preparaty analogu α -galaktozydazy: agalzydaza alfa (Replagal) i agalzydaza beta (Fabrazyme). Dostępna jest również terapia chaperonowa. Pierwszym zatwierdzonym w Unii Europejskiej białkiem opiekuńczym przeznaczonym do leczenia chorych z chorobą Fabry'ego jest migalastat (lek Galafold).

Liczebność populacji objętej wnioskowaną terapią jest szacowana na podstawie opinii ekspertów na od 40-72 pacjentów. Liczba nowych zachorowań 3-8 rocznie (Stowarzyszenie Rodzin z Chorobą Fabry'ego podaje liczbę obecnie chorych na 73 osoby).

W wyniku wyszukiwania odnaleziono 9 dokumentów opisujących metody terapii. Z większości odnalezionych wytycznych wynika, że leczenie choroby Fabry'ego jest wskazane w przypadkach wystąpienia objawów narządowych, za wyjątkiem mężczyzn z klasyczną postacią choroby, u których leczenie rekomendowane jest nawet bez występowania objawów somatycznych. Jedynie wytyczne Fabry Delphi working group 2014 zalecają rozpoczęcie terapii ERT u wszystkich objawowych pacjentów, niezależnie od wieku i płci oraz manifestacji objawowej choroby. Obecnie leczenie choroby Fabry'ego ograniczone jest do dwóch terapii: zastępczej terapii enzymatycznej (ERT) oraz terapii chaperonowej, w ramach której obecnie dopuszczony do stosowania (zarówno w UE, jak i w USA) w tym wskazaniu jest tylko migalastat.

Problem ekonomiczny

Oszacowany ICUR dla porównania AGA- β vs BSC wyniósł [REDACTED]. Wartości te znajdują się [REDACTED], o którym mowa w ustawie o refundacji.

Główne argumenty decyzji

Stosowanie AGA- β w miejsce obecnie dostępnego leczenia podtrzymującego jest droższe, ale i skuteczniejsze. Głównym argumentem decyzji jest problem ekonomiczny wynikający z kosztów przekraczających próg opłacalności terapii opisany w ustawie o refundacji. W związku z tym, bezwzględnym warunkiem pozytywnego stanowiska Rady jest wprowadzenie pogłębionych mechanizmów RSS oraz mechanizmu cappingu.

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.4331.39.2018 „Wniosek o objęcie refundacją leku Fabrazyme (agalzydaza beta) w ramach programu lekowego »Leczenie choroby Fabry’ego (ICD-10 E 75.2)«”. Data ukończenia: 29 listopada 2018.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinie przedstawicieli pacjentów/ekspertów przedstawione w trakcie posiedzenia.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Genzyme Europe B.V.).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Genzyme Europe B.V. 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: Genzyme Europe B.V.