



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 41/2019 z dnia 13 maja 2019 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku Inovelon (rufinamide) we wskazaniach: padaczka lekooporna, zespół Lennox-Gastauta, zespół Westa, zespół Rasmussena

Rada Przejrzystości uważa za zasadne wydawanie zgód na refundację leków:

- *Inovelon (rufinamide), tabletki à 100 mg;*
- *Inovelon (rufinamide), tabletki à 200 mg;*
- *Inovelon (rufinamide), tabletki à 400 mg,*

we wskazaniach: padaczka lekooporna, zespół Lennox-Gastauta, zespół Westa, zespół Rasmussena.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Pismem z dnia 25.01.2019 r., Minister Zdrowia zlecił zbadanie zasadności wydawania zgody na refundację w ramach importu docelowego produktu leczniczego Inovelon (rufinamide) tabletki: à 100 mg; à 200 mg; à 400 mg, we wskazaniach: padaczka lekooporna, zespół Lennox-Gastauta, zespół Westa, zespół Rasmussena. Zgodnie z informacją przekazaną w zleceniu oceniany produkt leczniczy sprowadzany jest z zagranicy zgodnie z art. 4 „Prawo farmaceutyczne”. Zgodnie z art. 39 ustawy o refundacji na wniosek świadczeniobiorcy Minister Zdrowia może wydać decyzję o objęciu refundacją sprowadzonego leku. Jest on wtedy wydawany świadczeniobiorcy po wniesieniu opłaty ryczałtowej za opakowanie jednostkowe. Zgodnie z obwieszczeniem Ministra Zdrowia z dnia 27 lutego 2019 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. Urz. Min. Zdrow. z 2019 r., poz. 19) aktualnie w Polsce we wskazaniu: padaczka oporna na leczenie, refundowanych jest 16 produktów leczniczych, zawierających 6 substancji czynnych: gabapentyna, lewetyracetam, okskarbazepina, tiagabina, topiramata, wigabatryna; zespół Westa: refundowany jest 1 produkt leczniczy zawierający 1 substancję czynną: wigabatryna. W obwieszczeniu nie zidentyfikowano refundowanych produktów leczniczych stosowanych we wskazaniach: zespół Lennox-Gastauta oraz Zespół Rasmussena.



Dowody naukowe

Według American Academy of Neurology (AAN 2018), rufinamid jest skuteczny jako terapia dodatkowa u pacjentów z LGS, ale korzyści z jego stosowanie są niewielkie. Wytyczne organizacji NICE, mówią o możliwości zastosowania rufinamidu w 3 linii leczenia pacjentów z LGS. U dzieci od 4 r.ż., można zastosować rufinamid jako terapię wspomagającą (SIGN 2018).

W wyniku przeprowadzonego wyszukiwania zidentyfikowano 5 badań pierwotnych oraz 3 przeglądy systematyczne dotyczące skuteczności rufinamidu. Przeprowadzone badania kliniczne potwierdziły, że częstość napadów padaczkowych była znacznie mniejsza w grupie pacjentów przyjmujących rufinamid. Do najczęściej opisywanych działań niepożądanych należały bóle i zawroty głowy, uczucie zmęczenia oraz senności. U pacjentów z zespołem Lennox-Gastauta najczęstsze działania niepożądane obejmowały wymioty i senność. Działania niepożądane zwykle miały nasilenie od łagodnego do umiarkowanego.

Najczęstszymi działaniami niepożądanymi stanowiącymi przyczynę przerwania leczenia rufinamidem były wysypka i wymioty.

Problem ekonomiczny

Zgodnie z odnalezionym zleceniem Ministra Zdrowia z dnia 13.01.2016 r. (znak pisma: PLD.46434.169.2016.AŁ) dotyczącym przygotowania opracowania oceny technologii medycznych, dotyczącego zasadności finansowania terapii produktem leczniczym Inovelon (rufinamid) we wskazaniu: padaczka lekooporna pod postacią zespołu Lennox-Gastauta, oraz z informacją otrzymaną z Ministra Zdrowia z dnia 16.05.2019 r. (znak pisma: PLD.46434.518.2019.AD), wynika, że łączna kwota refundacji leku Inovelon wyniosła odpowiednio w latach: 2012 241 390 tys. zł., 2013 – 250 479 tys. zł.; 2014 – 350 463 tys. zł.; w 2015 - 271 134 tys. zł., a w latach 2017-2018 – 612 259 tys. zł. Szacunkowy roczny koszt leczenia jednego pacjenta produktem leczniczym Inovelon w dawce 400 mg, z perspektywy wspólnej (NFZ + pacjenta) wynosi w przypadku pacjentów nieleczonych walproinianem: 35 231,2 zł. (opakowanie 50 szt.) oraz 44 582,5 zł. (opakowanie 60 szt.), a w przypadku pacjentów leczonych walproinianem: 28 228,0 zł. (opakowanie 50 szt.) oraz 33 224,4 zł (opakowanie 60 szt.).

Główne argumenty decyzji

Wyniki badań klinicznych wskazują na skuteczność rufinamidu w zmniejszaniu częstości napadów padaczkowych. Wytyczne kliniczne wskazują na możliwość zastosowania rufinamidu jako leczenia wspomagającego.

Z informacji przekazanych przez Ministra Zdrowia wynika, że w latach 2017-2018 liczba unikalnych PESELI (liczba pacjentów) we wnioskach o refundację produktu leczniczego wyniosła: 17 dla wskazania padaczka lekooporna; 15 dla wskazania zespół Lennox-Gastauta. Dla wskazania zespół Westa i zespół Rasmussena,

do Ministra Zdrowia nie wpłynął żaden wniosek o refundację w trybie importu docelowego dla wnioskowanej technologii. Należy przypuszczać, że w kolejnych latach liczba pacjentów stosujących tę technologię medyczną będzie podobna, co za tym idzie obciążenie dla płatnika publicznego będzie również podobne.

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 2019 r., poz. 784), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności wydawania zgody na refundację nr: OT.4311.3.2019 „Inovelon (rufinamid) we wskazaniach: padaczka lekooporna, zespół Lennox-Gastauta, zespół Westa, zespół Rasmussena”. Data ukończenia: 7.05.2019 r.