



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 40/2019 z dnia 13 maja 2019 roku

w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku Ospolot (sultiam) we wskazaniach: padaczka, padaczka lekooporna, padaczka lekooporna w przebiegu encefalopatii o fenotypie zespołu Retta

Rada Przejrzystości uważa za zasadne wydawanie zgód na refundację leków:

- *Ospolot (sultiam), tabletki à 50 mg,*
- *Ospolot (sultiam), tabletki à 200 mg,*

we wskazaniach: padaczka, padaczka lekooporna, padaczka lekooporna w przebiegu encefalopatii o fenotypie zespołu Retta.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Celem jest ocena zasadności finansowania ze środków publicznych produktu leczniczego Ospolot (sultiam) we wskazaniu padaczka; padaczka lekooporna; padaczka lekooporna w przebiegu encefalopatii o fenotypie zespołu Retta, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych. Oceniana technologia była przedmiotem oceny AOTMiT w 2013 r. we wskazaniach: padaczka lekooporna pod postacią zespołu Kożewnikowa (BIP 122/20132) i padaczka lekooporna pod postacią zespołu Doose'a (BIP 123/20133) i uzyskała opinię negatywną.

Padaczka (ICD-10: G40) jest przewlekłą chorobą mózgu cechującą się trwałą skłonnością do występowania napadów padaczkowych nieprovokowanych lub odruchowych. Napad padaczkowy jest skutkiem wystąpienia przemijającej, nieprawidłowej, nadmiernej lub synchronicznej czynności komórek mózgu co prowadzi do pojawienia się stereotypowych epizodów o nagłym początku, w czasie których mogą występować zaburzenia świadomości, zachowania, emocji, czynności ruchowych, czuciowych lub wegetatywnych, dostrzegane przez chorego lub jego otoczenie.

W krajach rozwiniętych roczną zapadalność szacuje się na poziomie 50-70 osób na 100 tys., a wskaźnik rozpowszechnienia wynosi ok. 1% [Szczeklik 2014]. Padaczka oporna na leczenie dotyka ok. 20-30% chorych [PTN 2016].

Dowody naukowe



Żadna z czterech odnalezionych rekomendacji klinicznych nie wymienia sultiamu.

Z pięciu odnalezionych publikacji omawiających skuteczność kliniczną sultiamu, trzy wskazują jego większą skuteczność w przypadku porównania z fenobarbitem oraz pregabaliną w leczeniu napadów padaczkowych, jednak wyniki nie osiągnęły istotności statystycznej.

W ocenie dwóch ekspertów klinicznych oceniana terapia „powinna być finansowana w odniesieniu do pacjentów z padaczką ogniskową głównie wieku dziecięcego oraz we wskazaniu padaczka jak i padaczka lekooporna”, a także w „przypadkach podyktowanych biologiczną lekoopornością lub kontynuacją leczenia preparatem zleconym w innym kraju, powinno być zasadne wydawanie zgody na refundację w ramach importu docelowego (...)”.

Eksperci także zgodnie zwracają uwagę na fakt, że nie ma jednego leku przeciwpadaczkowego dla wszystkich pacjentów. Od dawna w leczeniu padaczki obowiązuje zasada indywidualnego doboru leku dla konkretnego pacjenta chorującego na padaczkę, a nie ogólnie dla pacjenta z padaczką. W kanonie i standardzie postępowania terapeutycznego obowiązuje wybór leku zgodnie z rodzajem napadu padaczkowego, wiekiem, płcią, funkcjonowaniem chorego (upośledzenie umysłowe, zdolności poznawcze, nauka, praca).

Problem ekonomiczny

Zgodnie z danymi przekazanymi przez Ministerstwo Zdrowia razem ze zleceniem, w latach 2016-2019 (od lipca 2016 do marca 2019 r.), w ramach importu docelowego pozytywnie rozpatrzono 24 wnioski o refundację dla 12 unikalnych PESELI. Łączna kwota zgód na refundację to 31 908 zł netto.

Brak jest danych umożliwiających precyzyjne oszacowanie wielkości przyszłej populacji pacjentów kwalifikujących się do stosowania produktów leczniczych Ospolot.

Główne argumenty decyzji

Ze względu na opinie ekspertów klinicznych dotyczących zastosowania omawianej interwencji, bardzo ograniczone jej dotychczasowe zastosowanie w Polsce, niewielkie koszty ponoszone przez płatnika publicznego na jej refundację oraz mając na względzie komfort możliwości wyboru omawianej interwencji przez lekarza w odniesieniu do konkretnego pacjenta Rada pozytywnie opiniuje zasadność finansowania Ospolotu (sultiam) w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych.

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.4311.5.2019 „Produkty lecznicze Ospolot (sultiam) we wskazaniach: padaczka; padaczka lekooporna; padaczka lekooporna w przebiegu encefalopatii o fenotypie zespołu Retta”. Data ukończenia: 8 maja 2019 r.