



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 64/2019 z dnia 30 lipca 2019 roku
w sprawie oceny leku Galafold (migalastatum) w ramach programu
lekowego: „Leczenie choroby Fabry'ego”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Galafold (migalastatum) 123 mg, kapsułki twarde, 14 sztuk, EAN 5909991390273, w ramach programu lekowego: „Leczenie choroby Fabry'ego”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Choroba Fabry'ego jest rzadka (1;100 000), dziedziczona recesywnie w sprzężeniu z chromosomem X, spowodowana niedoborem enzymu lizosomalnego alfa-galaktozydazy A. Choroba ma liczne przykre objawy, takie jak: zaburzenia neurologiczne, upośledzenie tolerancji wysokiej temperatury i zmniejszenie wydzielania potu, hipertermia, parestezje dalszych części kończyn (w dzieciństwie silne bóle), charakterystyczne rozsiane zmiany skórne, rogowaciejące naczyniaki (angiokeratoma), objawy oczne - zaćma podtorebkowa, zmętnienie rogówki i postępujące upośledzenie słuchu. Skraca też życie z uwagi na częstsze występowanie uszkodzenia nerek, incydentów sercowo-naczyniowych, takich jak udar mózgu, zawał serca i niewydolność serca. Powikłania te występują u ok 5% chorych z chorobą Fabry'ego i są przyczyną znaczącego (o ok 15-20 lat) skrócenia czasu przeżycia chorych.

Leczenie przyczynowe polega na enzymatycznej terapii zastępczej czyli podawaniu rekombinowanego analogu α -galaktozydazy: agalzydazy alfa (Replagal) i agalzydazy beta (Fabrazyme). Leczenie to, mimo jego uzasadnienia teoretycznego, nie spełniło pokładanych w nim nadziei, z uwagi na nieudowodniony wpływ na ważne klinicznie punkty końcowe.

Migalastat (lek Galafold) jest pierwszym zatwierdzonym w Unii Europejskiej białkiem opiekuńczym, przeznaczonym do leczenia chorych ≥ 16 r. ż. z chorobą Fabry'ego.

Dowody naukowe

Do analizy klinicznej wnioskodawcy włączono 2 badania randomizowane: FACETS (MIG vs PLC) i ATTRACT (MIG vs substytucja enzymem) oraz 1 badanie jednoramienne, dotyczące skuteczności praktycznej migalastatu w populacji



osób dorosłych z chorobą Fabry'ego. Pierwszorzędowe punkty końcowe dotyczyły parametrów biochemicznych w zakresie funkcji nerek. Nie wykazano istotnej statystycznej różnicy między MIG a PLC pod względem jakości życia i zmniejszenia częstości zdarzeń sercowo-naczyniowych. Należy tu zauważyć, że 18 miesięczny okres badania, może być zbyt krótki na ujawnienie wszystkich korzyści terapii, jak również jej działań niepożądanych.

Problem ekonomiczny

Główne argumenty decyzji

- Dowody naukowe niskiej jakości

Można powołać się tu na opinię Prescrire: Brak dowodów skuteczności leku, a działania niepożądane są ciągle niedostatecznie poznane.

Nowy lek nie może być uważany za postęp terapeutyczny tylko dlatego, że ma nowy mechanizm i jest przyjmowany doustnie. Musi również udowodnić skuteczność w oparciu o kliniczne punkty końcowe, co nie ma miejsca w przypadku migalastatu.

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 2019 r., poz. 784 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr: OT.4331.28.2019 „Wniosek o objęcie refundacją leku Galafold (migalastatum) w ramach programu lekowego: «Leczenie choroby Fabry'ego»”. Data ukończenia: 18.07.2019 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone kolorem żółtym stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Amicus Therapeutics UK Ltd).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Amicus Therapeutics UK Ltd 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 r., 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 2018 r., poz. 419).

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

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Amicus Therapeutics UK Ltd