



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 215/2019 z dnia 15 lipca 2019 roku
w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych,
w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku
Zavesca (miglustat) we wskazaniu: choroba Niemann-Picka typu C
(ICD-10: E75.2)

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Zavesca (miglustat), kapsułki à 100 mg, we wskazaniu: choroba Niemann-Picka typu C (ICD-10: E75.2).

Rada uznaje, iż tryb RDTL nie jest właściwy w przypadku przewlekłych chorób metabolicznych.

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Choroba Niemann-Picka (NP) typu C jest rzadką genetyczną chorobą spichrzeniową, dotykającą rocznie w Europie Zachodniej średnio 1 na 120 tys. żywo urodzonych dzieci, dziedziczy się w sposób autosomalny recesywny. W Polsce rodzi się rocznie 1–5 dzieci obciążonych NP typu C. Należy podkreślić, że dane te są jedynie szacunkowe i oparte na rozpoznawalności, tak więc rzeczywista częstość występowania choroby może być wyższa. NP typu C jest chorobą o niepomyślnym rokowaniu. Większość pacjentów umiera przed ukończeniem 20 roku życia (wielu przed 10 rokiem życia).

Choroba NP typu C jest zaburzeniem wewnątrzkomórkowego transportu cholesterolu i innych związków lipidowych na poziomie endosomów i lizosomów, prowadzące do gromadzenia się lipidów w komórkach, głównie niezestryfikowanego cholesterolu w tkankach obwodowych z następowym powiększeniem śledziony i wątroby, oraz gangliozydów GM2 i GM3 w ośrodkowym układzie nerwowym, z następowym pogorszeniem czynności poznawczych, porażeniem ruchów gałek ocznych do góry i w dół, ataksją, napadami padaczkowymi i/lub dystonią.

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Jedynym dostępnym lekiem na świecie w tej jednostce chorobowej, który wykazuje wątpliwą (subiektywną) skuteczność stwierdzoną w pojedynczych



badaniach jest miglustat. Wnioskowanie odnośnie efektywności klinicznej jest ograniczone ze względu na niską wiarygodność dostępnych danych klinicznych. Opiera się, przede wszystkim, na jednym badaniu RCT, które obejmowało nieliczną grupę pacjentów, co w znacznym stopniu zwiększa niepewność wnioskowania. Dodatkowo warto zauważyć, że w żadnym z odnalezionych doniesień nie analizowano wpływu ocenianej technologii na przeżycie czy jakość życia, które to punkty końcowe byłyby analizowane jako pierwszorzędowe. Na podstawie pozostałych odnalezionych badań, głównie opisów przypadków, nie jest możliwe przeprowadzenie jednoznacznego, spójnego i wiarygodnego wnioskowania odnośnie skuteczności klinicznej miglustatu. Dostępne są wyniki badań obserwacyjnych, które potwierdzają wyniki przedstawione w badaniu głównym, jednak należy stwierdzić, że konieczne są dalsze badania obserwacyjne porównujące odpowiedź kliniczną pacjentów leczonych miglustatem z pacjentami nieotrzymującymi tego leku, a także ocena długoterminowej skuteczności podawania miglustatu u pacjentów z wczesno-niemowlęcą postacią choroby, u których leczenie rozpoczęto w momencie pojawienia się objawów neurologicznych choroby. Na podstawie powyższego można stwierdzić, że wnioskowanie dotyczące skuteczności klinicznej ocenianej technologii jest obarczone niepewnością związane z rzadkim występowaniem schorzenia.

Bezpieczeństwo stosowania

Najczęściej występującymi działaniami niepożądanymi zgłaszanymi w badaniach klinicznych Zavesca były: biegunka, wzdęcia, ból brzucha, zmniejszenie masy ciała i drgawki. Najczęściej zgłaszanym ciężkim działaniem niepożądanym była neuropatia obwodowa.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Zavesca jest wskazana do stosowania w leczeniu postępujących objawów neurologicznych u pacjentów dorosłych oraz u dzieci z chorobą Niemann-Picka typu C. Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania została oceniona przez EMA na etapie rejestracji.

Wskazanie, którego dotyczy wniosek zawiera się we wskazaniu rejestracyjnym produktu leczniczego Zavesca. W związku z faktem, że lek zarejestrowano w ww. wskazaniu (w tym we wnioskowanym wskazaniu), można domniemywać, że relacja została oceniona jako pozytywna.

Konkurencyjność cenowa

Brak konkurencyjnych leków.

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

Przyjęcie negatywnej opinii Rady nie skutkuje wydatkami podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych.

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

Brak alternatywnej technologii, poza rehabilitacją i najlepszym leczeniem podtrzymującym.

.....
Przewodniczący Rady Przejrzystości

Prof. Rafał Niżankowski

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.422.49.2019, „Zavesca (miglustat) we wskazaniu: choroba Niemann-Picka typu C (ICD-10: E75.2)”. Data ukończenia: 11.07.2019 r.