



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 31/2020 z dnia 11 maja 2020 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku Firdapse
(amifampridinum) we wskazaniu: zespół miasteniczny Lamberta-
Eatona

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację sprowadzanego z zagranicy, w ramach importu docelowego, leku Firdapse (amifampridinum), tabletki á 10 mg, we wskazaniu: zespół miasteniczny Lamberta-Eatona, pod warunkiem, że cena leku nie będzie wyższa od podanej we wniosku refundacyjnym.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Zespół miasteniczny Lamberta-Eatona (LEMS) to bardzo rzadka choroba autoimmunologiczna wywołana przez przeciwciała skierowane przeciwko zależnym od napięcia kanałom wapniowym w błonie presynaptycznej złącza nerwowo-mięśniowego. Według portalu orpha.net szacunkowa częstość występowania zespołu miastenicznego Lamberta i Eatona na świecie wynosi 1/250 000–1/330 000. Produkt Firdapse (fosforan amifamprydyny) posiada pozwolenie na dopuszczenie do obrotu na terenie Unii Europejskiej wydane przez Europejską Agencję Leków. Obecnie produkt ten nie jest dostępny w obrocie na terytorium Rzeczypospolitej Polskiej, ale może być sprowadzony z zagranicy zgodnie z art. 4 ustawy z dn. 6 września 2001 roku Prawo farmaceutyczne (Dz.U. z 2019 r., poz. 499, z późn. zm.). Produkt leczniczy Firdapse był przedmiotem oceny Agencji w 2018 roku. Zarówno Rada Przejrzystości, jak i Prezes Agencji uznali za zasadne objęcie refundacją leku Firdapse we wskazaniu zespół miasteniczny Lamberta-Eatona, pod warunkiem obniżenia ceny produktu. Wnioskowane wskazanie jest zgodne ze wskazaniem rejestracyjnym.

Dowody naukowe

Wyniki wszystkich badań wskazują, że zastosowanie 3,4-DAP u chorych z LEMS skutkuje uzyskaniem istotnie statystycznie lepszych wyników na koniec badania we wszystkich pierwszorzędowych punktach końcowych w porównaniu ze stosowaniem placebo. CHMP oprócz oceny dokumentacji rejestracyjnej



(pozytywna) co roku dokonuje ponownej oceny stosunku korzyści do ryzyka stosowania Firdapse, ponieważ produkt został zarejestrowany w procedurze „exceptional circumstances”. W 2019 produkt przeszedł pozytywnie procedurę re-rejestracji.

U chorych z LEMS w przebiegu raka płuca podstawowym postępowaniem jest leczenie nowotworu. Zgodnie z opinią eksperta u pozostałych chorych lek może znaleźć zastosowanie po wykluczeniu tych, którzy pozytywnie odpowiadają na inne metody leczenia.

Problem ekonomiczny

Przy uwzględnieniu aktualnej ceny w Stanach Zjednoczonych, roczny koszt terapii lekiem Firdapse jednego pacjenta jest skrajnie wysoki i wyniesie 1,7 mln zł, a 26 pacjentów 44,6 mln zł. Należy jednak zauważyć, że przy uwzględnieniu ceny zaproponowanej we wniosku refundacyjnym z 2018 r. roczny koszt terapii lekiem Firdapse jednego pacjenta wynosił [REDAKTOWANE], a 26 pacjentów [REDAKTOWANE]

Główne argumenty decyzji

Wyniki wszystkich badań wskazują, że zastosowanie 3,4-DAP u chorych z LEMS skutkuje uzyskaniem istotnie statystycznie lepszych wyników na koniec badania we wszystkich pierwszorzędowych punktach końcowych w porównaniu ze stosowaniem placebo. Odnajdzone wytyczne kliniczne wskazują, że 3,4-diaminopirydyna powinna stanowić leczenie pierwszego rzutu i jest zalecana jako leczenie objawowe. Brak zarejestrowanych alternatywnych interwencji ukierunkowanych na leczenie LEMS.

Uwaga Rady

Rada zwraca uwagę na trudne do przewidzenia obciążenie budżetu płatnika publicznego, ze względu na niepewność dotyczącą kosztu sprowadzanego produktu leczniczego oraz znaczące zmiany w szacowanym rocznym koszcie terapii.

Rada uważa, że sprowadzanie leku z zagranicy jest zasadne, pod warunkiem, że jego cena nie będzie wyższa do wskazanej we wcześniej opiniowanym wniosku refundacyjnym.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust. 2 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 1373 z późn. zm.) oraz w zw. 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 2020 r., poz. 357), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności wydawania zgody na refundację nr: OT.4311.3.2020 „Firdapse (amifamprydyna) we wskazaniu: zespół miasteniczny Lamberta-Eatona”. Data ukończenia: 6 maja 2020 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone kolorem czarnym stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców BioMarin International Limited.

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem BioMarin International Limited 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: BioMarin International Limited.