



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 1/2021 z dnia 4 stycznia 2021 roku
w sprawie oceny leku Jinarc (tolvaptanum) w ramach programu
lekowego „Leczenie autosomalnie dominującej postaci zwyrodnienia
wielotorbielowatego nerek (ICD-10 Q 61.2)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktów leczniczych:

- *Jinarc (tolvaptanum), tabletki, 30 mg; 90 mg, 56 tabl., EAN: 05038256002139*
- *Jinarc (tolvaptanum), tabletki, 30 mg; 60 mg, 56 tabl., EAN: 05038256002122*
- *Jinarc (tolvaptanum), tabletki, 15 mg; 45 mg, 56 tabl., EAN: 05038256002115 w ramach programu lekowego „Leczenie autosomalnie dominującej postaci zwyrodnienia wielotorbielowatego nerek (ICD-10 Q 61.2)”.*

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Autosomalna dominująca torbielowatość nerek (ADPKD) jest ogólnoustrojową chorobą genetyczną, dziedziczną w sposób autosomalny dominujący. Charakteryzuje się rozwojem i wzrostem torbieli w nerkach, co prowadzi do nadciśnienia tętniczego, zakażeń układu moczowego, a w końcu ich całkowitej niewydolności. Częstość występowania autosomalnie dominującej postaci zwyrodnienia wielotorbielowatego nerek szacuje się w krajach Unii Europejskiej na 4 przypadki na 10 tys. osób co oznacza, iż choroba ta spełnia kryteria choroby rzadkiej. Tolwaptan (TOL), antagonistą ADH jest rekomendowany w leczeniu chorych na ADPKD, , gdyż hamuje tworzenie torbieli przez co hamuje pogorszenie funkcjonowania nerek u chorych na ADPKD.

Zgodnie z CHPL produkt Jinarc jest wskazany do stosowania w celu spowolnienia postawania torbieli i progresji upośledzenia czynności nerek w autosomalnie dominującej postaci zwyrodnienia wielotorbielowatego nerek (ADPKD) u dorosłych pacjentów z przewlekłą chorobą nerek (PChN) w stadium od 1. do 3. W momencie rozpoczęcia leczenia, którzy wykazują szybki postęp choroby.

Dowody naukowe

Randomizowane, podwójnie zaślepienie badanie TEMPO 3:4, w którym przeprowadzono porównawczą ocenę skuteczności i bezpieczeństwa TOL



względem najlepszego leczenia wspomagającego w populacji dorosłych chorych na ADPKD z przewlekłą chorobą nerek w stadium od 1. do 3. spadek wartości eGFR od zakończenia dostosowywania dawki do zakończenia leczenia w grupie stosującej TOL był mniejszy niż w grupie kontrolnej i wynosił 2,72 ml/min/1,73 m² na rok (w grupie kontrolnej wynosił on 3,70 ml/min/1,73 m² na rok, Obiektywna korzyść wynosiła jedynie 1 ml/min/1,73 m² na rok. Badanie to włączono do przeglądu systemowego Baur 2014. Potwierdzono w nim, że stosowanie TOL opóźnia zwiększanie objętości nerek, opóźnia pogorszenie funkcji nerek oraz zmniejsza ból nerek.

Stosowanie TOL wiąże się z wystąpieniem istotnie częściej zdarzeń niepożądanych (np. nadmiernej nocnej diurezy) i niekiedy bardzo ciężkiego działania niepożądanego nieodwracalnego uszkodzenia wątroby. Z tego powodu stosowanie leku podlega w wielu miejscach intensywnemu nadzorowi n.p. Risk Evaluation and Mitigation Strategy (REMS).

Problem ekonomiczny

Stosowanie tolwaptanu w miejsce komparatora (BSC)

Główne argumenty decyzji

- [redacted]
- Poważne działania niepożądane.
- Brak istotnych efektów klinicznych.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2020 r., poz. 357, z późn. zm.), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2020 r., poz. 1398), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OT.4331.44.2020 „Wniosek o objęcie refundacją leku Jinarc (tolwaptan) we wskazaniu: »Leczenie autosomalnie dominującej postaci zwyrodnienia wielotorbielowatego nerek (ICD-10 Q 61.2)«”, data ukończenia: 23 grudnia 2020 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Swixx Biopharma sp. z o.o.).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Swixx Biopharma sp. z o.o. 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: Swixx Biopharma sp. z o.o.