



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 21/2021 z dnia 15 lutego 2021 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leków Petnidan Saft (ethosuximidum), Petinimid (ethosuximidum), Zarontin (ethosuximidum) we wskazaniu: padaczka lekooporna (w tym padaczka z napadami nieświadomości)

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację leków:

- *Petnidan Saft (ethosuximidum), syrop, á 50 mg/ml,*
- *Petinimid (ethosuximidum), syrop, á 50 mg/ml,*
- *Zarontin (ethosuximidum), syrop, á 50 mg/ml,*

we wskazaniu: padaczka lekooporna (w tym padaczka z napadami nieświadomości).

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Produkty lecznicze Petnidan Saft, Petinimid oraz Zarontin, zawierające substancję czynną etosuksymid, syrop á 50 mg/ml, nie są dopuszczone do obrotu na terytorium Rzeczypospolitej Polskiej; do tej pory sprowadzane były w ramach importu docelowego.

Problem zdrowotny

Padaczka (ICD-10: G40) jest przewlekłą chorobą ośrodkowego układu nerwowego. Charakteryzuje się występowaniem nieprovokowanych napadów, w czasie których mogą występować zaburzenia świadomości, zachowania, emocji, czynności ruchowych, czuciowych lub wegetatywnych, dostrzegalne przez chorego lub jego otoczenie. Padaczka lekooporna jest rozpoznawana, gdy dwie, kolejne próby interwencji lekowych w monoterapii lub terapii dodanej nie doprowadzą do osiągnięcia utrwalonej i pełnej kontroli napadów.

Napady pierwotnie uogólnione powodują od razu utratę przytomności. Do napadów uogólnionych zalicza się napady nieświadomości, napady miokloniczne, napady kloniczne, napady toniczne, napady toniczno-kloniczne oraz napady atoniczne astatyczne. Napady nieświadomości (z fr. petit mal) cechują się nagłą, krótkotrwałą utratą świadomości bez utraty postawy, trwającą kilka sekund, z szybkim powrotem świadomości.



W Polsce padaczka dotyczy 260-400 tys. osób, w tym lekooporność występuje u ok. 120-130 tys. chorych.

Dowody naukowe

Do analizy włączono jeden przegląd systematyczny Cochrane - Brigo 2017, randomizowane badanie Sato 1982 oraz opis serii przypadków Rowan 1983. Według przeglądu Cochrane, zarówno pod względem skuteczności, jak i bezpieczeństwa leczenia, etosuksymid stanowi optymalną monoterapię początkową dla dzieci i młodzieży z napadami nieświadomości. Natomiast według Rowan 1983, dodanie etosuksymidu do standardowego leczenia (walproinian, fenytoina, karbamazepina) pozwoliło całkowicie uniknąć występowania napadów. Większość odnalezionych rekomendacji wskazuje, że etosuksymid powinien być stosowany głównie w pierwszej linii leczenia oraz w terapii dodanej w leczeniu napadów nieświadomości i jest to jedyny rodzaj napadów, które należy leczyć przy jego zastosowaniu (PTN 2020: Etosuksymid jest zalecany jedynie w I linii leczenia chorych z napadami nieświadomości; NICE 2012 (aktualizacja 2020): Etosuksymid jest zalecany u dzieci i młodzieży z padaczką lekooporną, u których występują napady nieświadomości).

Działania niepożądane, występujące nie częściej niż u 1 na 10 pacjentów, to: zmniejszenie apetytu, bóle głowy, niepokój, trudności w kontrolowaniu ruchów, zawroty głowy, senność, bóle brzucha i skurcze, nudności, wymioty, wysypka skórna, pokrzywka. Podczas leczenia etosuksymidem zgłoszono też występowanie ciężkich reakcji skórnych, w tym zespołu Stevensa-Johnsona (SJS) i reakcji polekowej z eozynofilią i objawami układowymi (DRESS).

Problem ekonomiczny

W 2019 r. Minister Zdrowia wydał zgodę na refundację w przypadku 37 wniosków dotyczących Petnidan Saft (zrefundowano 274 opakowania), 27 wniosków dotyczących Petinimidu (zrefundowano 213 opakowań), 0 wniosków dotyczących Zarontinu (zrefundowano 0 opakowań). Łącznie w 2019 r. zrefundowano 487 opakowań leków zawierających etosuksymid w postaci syropu 50 mg/ml w opakowaniu 250 ml (produkty lecznicze Petnidan Saft i Petinimid). Kwota refundacji w 2019 r. wyniosła 66 559,37 zł. (wydatki poniesione przez płatnika były prawdopodobnie wyższe z powodu nieuwzględnienia marż detalicznych).

Główne argumenty decyzji

Zdaniem Konsultanta Wojewódzkiego w dziedzinie neurologii dziecięcej etosuksymid (Petinimid) jest skuteczną terapią w leczeniu padaczki lekoopornej z napadami nieświadomości. Zastosowanie preparatu w formie syropu stanowi najlepsze rozwiązanie dla najmłodszych pacjentów. W Polsce jest finansowany ze środków publicznych jedynie Petinimid w kapsułkach.

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 2020 r., poz. 1398 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 późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności wydawania zgody na refundację nr: OT.4211.3.2021 „Petnidan Saft (ethosuximidum), syrop, á 50 mg/ml, Petinimid (ethosuximidum), syrop, á 50 mg/ml, Zarontin (ethosuximidum), syrop, á 50 mg/ml we wskazaniu: padaczka lekooporna (w tym padaczka z napadami nieświadomości)”. Data ukończenia: 11 lutego 2021