



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 111/2021 z dnia 13 września 2021 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację produktu
lecniczego Epidyolex (cannabidiolum) we wskazaniu:
napady padaczkowe związane z zespołem Lennox-Gastaut – pacjent
pediatryczny

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację leku Epidyolex (cannabidiolum), roztwór doustny, 100 mg/ml, we wskazaniu: napady padaczkowe związane z zespołem Lennox-Gastaut – pacjent pediatryczny.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Zespół Lennox-Gastaut, należy do grupy encefalopatii wieku dziecięcego, o ciężkim przebiegu, z napadami padaczkowymi, zaburzeniami rozwojowymi i upośledzeniem umysłowym. Napady padaczkowe występujące w przebiegu zespołu są częste, a ponadto zazwyczaj odporne na leczenie farmakologiczne.

Epidyolex jest lekiem zawierającym substancję czynną kannabidiol, zarejestrowanym w leczeniu napadów padaczkowych związanych z zespołem Lennox-Gastaut lub z zespołem Dravet jako lek wspomagający w skojarzeniu z klobazamem u pacjentów w wieku 2 lat lub starszych oraz jako lek wspomagający w leczeniu napadów padaczkowych związanych ze stwardnieniem guzowatym u pacjentów w wieku 2 lat lub starszych. W związku z powyższym wnioskowane wskazanie jest tożsame ze wskazaniem rejestracyjnym.

Dowody naukowe

Skuteczność kannabidiolu w leczeniu wspomagającym napadów drgawek związanych z zespołem Lennox-Gastaut oceniano w dwóch badaniach randomizowanych, prowadzonych metodą podwójnie ślepej próby, kontrolowanych placebo, w grupach równoległych (GWPCARE3 i GWPCARE4). W obu badaniach wykazano, że stosowanie kannabidiolu wiąże się z znaczącym zmniejszeniem ryzyka napadów padaczkowych. W badaniu GWPCARE3 odsetek pacjentów ze zmniejszeniem częstości napadów wyniósł, w zależności od zastosowanej dawki, od 37,2% do 41,9%, w porównaniu z 17,2% w grupie



otrzymującej placebo. W badaniu GWPCARE4 uzyskano podobne wyniki uzyskując redukcję 43,9% w grupie otrzymującej kannabidiol (w obu przypadkach różnice były istotne statystycznie). W podgrupie pacjentów otrzymującej dodatkowo klobazam obserwowany efekt był korzystniejszy, z odsetkiem pacjentów z redukcją częstości napadów przekraczającym 60%.

Rekomendacje refundacyjne dla produktu Epidyolex w leczeniu zespołu Lennox-Gastaut nie są zgodne. Rekomendacje niemieckie (G-BA 2021), francuskie (HAS 2020), szkockie (SMC 2020) oraz brytyjskie (NICE 2019) były pozytywne (brytyjskie pod warunkiem obniżenia ceny) natomiast irlandzkie (NCPE 2021) i szwedzkie (TLV 2020) były negatywne (irlandzkie warunkowo) ze względu na koszty i niepewność związaną z długotrwałym efektem działania kannabidiolu.

Profil bezpieczeństwa leku jest zadowalający, a nasilenie większości zdarzeń niepożądanych było łagodne lub umiarkowane. Najczęściej zgłaszanymi zdarzeniami niepożądanymi były biegunka, senność i drgawki a 4 odnotowane w czasie badania zgony, nie zostały uznane przez badaczy za związane z leczeniem.

Problem ekonomiczny

Szacunkowa cena produktu leczniczego Epidyolex, wynosi ok. 6500 zł. Biorąc pod uwagę podtrzymującą i maksymalną dawkę rekomendowaną w CHPL (tj. 10 i 20 mg/kg m.c./dobę) przy założeniu średniej wagi dzieci w całej populacji (2-18 lat) na poziomie 40,55 kg), Roczny koszt stosowania produktu leczniczego Epidyolex u jednego pacjenta wynosi odpowiednio od około 92 tys. PLN do 186 tys. zł. W 2020 roku w ramach procedury importu docelowego wpłynęły wnioski o refundację produktu leczniczego Epidyolex w leczeniu napadów padaczkowych związanych z zespołem Lennox-Gastaut od 7 pacjentów, żaden z tych wniosków nie został rozpatrzony pozytywnie.

Główne argumenty decyzji

Dostępne dane, pochodzące z badań wysokiej jakości potwierdzają użyteczność kliniczną kannabidiolu w leczeniu napadów padaczkowych w przebiegu zespołu Lennox-Gastaut przy zadowalającym profilu bezpieczeństwa. Rekomendacje refundacyjne w większości są pozytywne a obciążenia budżetowe związane z leczeniem można uznać za umiarkowane.

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 2021 r., poz. 1285, 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 2021 r., poz. 523), z uwzględnieniem

opracowania na potrzeby oceny zasadności dalszego wydawania zgody na refundację nr OT.4211.25.2021 (Aneks do opracowania nr: OT.4311.24.2018) „Epidyolex (kannabidiol) we wskazaniu: napady padaczkowe związane z zespołem Lennox-Gastauta – pacjent pediatryczny”; Data ukończenia: 9 września 2021 r.