



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 143/2021 z dnia 20 grudnia 2021 roku

w sprawie oceny leku Vyndaqel (tafamidisum) w ramach programu lekowego „Leczenie tafamidisem kardiomiopatii w przebiegu amyloidozy transtyretynowej u dorosłych (ICD-10 E85)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Vyndaqel (tafamidisum), 61 mg, 30 kaps. miękkich, GTIN 05415062359426, w ramach programu lekowego „Leczenie tafamidisem kardiomiopatii w przebiegu amyloidozy transtyretynowej u dorosłych (ICD-10 E85)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Kardiomiopatia w przebiegu amyloidozy transtyretynowej (ATTR-CM) jest rzadko występującą, i jeszcze rzadziej rozpoznawaną chorobą spichrzeniową, spowodowaną gromadzeniem się w przestrzeni zewnątrzkomórkowej miokardium włókien amyloidu - transtyretyny. Skutkuje to stopniowym pogarszaniem funkcji rozkurczowej, a w bardziej zaawansowanych stadiach – także funkcji skurczowej lewej komory. Jest ona oporna na typowe leczenie niewydolności serca, co szybko prowadzi do śmierci pacjenta. Średni wiek rozpoznania to 74 lata; przeżycie od rozpoznania wynosi ok 4 lata.

Dowody naukowe

Vyndaqel był do tej pory stosowany głównie do leczenia neuropatii w przebiegu amyloidozy.

Jego skuteczność w leczeniu ATTR-CM wykazano w wielośrodkowym badaniu z randomizacją - ATTR-ACT. Zastosowanie megluminianu tafamidisu w dawce 80 mg wiązało się z obniżeniem ryzyka złożonego punktu końcowego (śmiertelności z uwzględnieniem przyczyn oraz hospitalizacji z przyczyn sercowo naczyniowych) o 30%; był to efekt istotny pod względem statystycznym.

Problem ekonomiczny

Szacowana wielkość populacji nowo rozpoznanej wynosi [redacted] (wg. szacunków producenta prognozowana populacja pacjentów leczonych będzie wynosić [redacted]). Jest ona obciążona znacznym błędem, gdyż uwzględnia, częściej rozpoznawaną, amyloidozę łancuchów lekkich



(ALL). [REDACTED]

Przez najbliższe lata ATTR CM będzie rozpoznawana jedynie w ośrodkach wysokospecjalistycznych.

[REDACTED]. Oszacowany ICUR [REDACTED].

Rekomendacje refundacyjne w innych krajach są rozbieżne (pozytywne: kanadyjska, nowozelandzka; negatywne: brytyjska, w tym NICE, irlandzka i niderlandzka).

Główne argumenty decyzji

- [REDACTED];
- Negatywne rekomendacje NICE.

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 2021 r., poz. 523), 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 2021 r., poz. 1285, z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OT.4231.49.2021 „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu produktu leczniczego Vyndaqel (tafamidis) w ramach programu lekowego leczenia kardiomiopatii w przebiegu amyloidozy transtyretynowej u dorosłych (ICD-10 E85)”, data ukończenia: 7.12.2021 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem (Pfizer Polska 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: (Pfizer Polska sp. z o.o.).