



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 124/2021 z dnia 8 listopada 2021 roku  
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację  
leku Xyrem (natrii hydroxybutyras) we wskazaniu:  
narkolepsja z katapleksją

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację leku Xyrem (natrii hydroxybutyras,) roztwór doustny 500 mg/ml, we wskazaniu: narkolepsja z katapleksją.*

### Uzasadnienie

#### Problem decyzyjny

*Narkolepsja to przewlekła hipersomnia, której objawami osiowymi są: nadmierna senność w ciągu dnia i katapleksja. Narkolepsja jest chorobą przewlekłą, która znacznie upośledza jakość życia dotkniętych nią pacjentów.*

#### Dowody naukowe

*3 opublikowane badania obserwacyjne dotyczące niewielkich (od 8 do 27 pacjentów) populacji pediatrycznej wskazywały na znamienne statystycznie zmniejszenie ciężkich ataków katapleksji i zmniejszenia senności w ciągu dnia*

*W przeglądzie systematycznym Alshikh 2012 wykazano, że zastosowanie hydroksymaślanu sodu przyczynia się do istotnego zmniejszenia średniej tygodniowej liczby ataków katapleksji o 8,46 epizodu oraz zmniejszenia częstotliwości napadów senności o 9,65. Pacjenci otrzymujący SXB mieli statystycznie więcej zdarzeń niepożądanych niż placebo, w tym nudności, zawroty głowy i moczenie mimowolne. Ryzyko wystąpienia wymiotów nie różniło się istotnie od placebo, jednak istniała tendencja do przewagi placebo w porównaniu z SXB. W randomizowanym badaniu Plazzi 2018 wykazano, że mediana zmiany tygodniowej liczby ataków katapleksji w stosunku do wartości wyjściowej wyniosła 12,7 dla uczestników losowo przydzielonych do grupy placebo i 0,3 dla uczestników losowo przypisanych do kontynuacji leczenia hydroksymaślanem sodu ( $p < 0,0001$ ). Zdarzenia niepożądane pojawiające się podczas leczenia we wszystkich okresach badania zgłosiło 75 (72%) ze 104 uczestników. Najczęściej zgłaszanymi działaniami niepożądanyymi wynikającymi z leczenia (>5%) były moczenie, nudności, wymioty,*



*ból głowy, zmniejszenie masy ciała, zmniejszenie apetytu, zapalenie nosogardzieli i zawroty głowy. Większość zdarzeń niepożądanych związanych z leczeniem miała nasilenie łagodne lub umiarkowane, zgłoszono dwa poważne zdarzenia niepożądane; nie zgłoszono żadnych zgonów*

*Technologia nie jest powszechnie rekomendowana. Trzy rekomendacje HAS były pozytywne, dwie SMC i jedna CADTH negatywne, natomiast AWMSG dwukrotnie nie mógł wydać rekomendacji z powodu braku wniosku producenta.*

#### Problem ekonomiczny

*Zgodnie z danymi MZ szacunkowa cena hurtowa netto sprowadzanego leku wynosi 2 363,45 zł, co odpowiada cenie detalicznej brutto 2 612,93 zł. Przy takiej cenie wydatki NFZ związane z refundacją leku Xyrem wyniosły zatem w 2020 r. 93 950,37 zł, a dopłata pacjenta 115,20 zł. W kolejnych latach można spodziewać się wydatków na podobnym poziomie.*

#### Główne argumenty decyzji

- *Skuteczność w niezaspokojonej potrzebie medycznej;*
- *Mały wpływ na budżet płatnika.*

#### **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 nr: OT.4211.36.2021 „Xyrem (hydroksymaślan sodu) we wskazaniu narkolepsja z katapleksją”, data ukończenia: 3 listopada 2021 r.