



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 72/2022 z dnia 8 sierpnia 2022 roku

w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku Fycompa (perampanelum) we wskazaniach: padaczka lekooporna, padaczka lekooporna z napadami ogniskowymi

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację, w ramach importu docelowego, leku Fycompa (perampanelum), tabletki powlekane/zawiesina doustna, we wskazaniach: padaczka lekooporna, padaczka lekooporna z napadami ogniskowymi.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Padaczka jest przewlekłą chorobą mózgu, cechującą się trwałą skłonnością do występowania napadów padaczkowych nieprovokowanych lub odruchowych. Padaczka lekooporna jest rozpoznawana, gdy dwie kolejne próby interwencji lekowych w monoterapii lub terapii dodanej (dobrze tolerowanych, właściwie dobranych i odpowiednio użytych) nie doprowadzą do osiągnięcia utrwalonej i pełnej kontroli napadów. Według eksperta klinicznego, o którego opinię wystąpiła Agencja, obecna liczba chorych na padaczkę lekooporną wynosi ok. 100 000, z czego u ok. 80% chorych występuje typ z napadami ogniskowymi.

Perampanel jest pierwszą substancją z grupy selektywnych, niekompetycyjnych antagonistów glutaminergicznych receptorów jonotropowych AMPA (kwas alfa-amino-3-hydroksy-5-metylo-4-izoksazolepropionowy) na części postsynaptycznej neuronów. Glutaminian jest głównym neuroprzekaźnikiem pobudzającym w ośrodkowym układzie nerwowym i ma udział w rozwoju zaburzeń neurologicznych spowodowanych nadmiernym pobudzeniem neuronów. Produkt Fycompa został zarejestrowany przez EMA w ramach procedury centralnej.

Produkt leczniczy Fycompa nie był dotychczas przedmiotem oceny Agencji.

Dowody naukowe

Do analizy skuteczności i bezpieczeństwa produktu Fycompa włączono 2 badania:



- *French 2015 – randomizowane, podwójnie zaślepienie, kontrolowane placebo, fazy III, oceniające skuteczność perampanelu w leczeniu padaczki lekoopornej z pierwotnie uogólnionymi napadami toniczno-klonicznymi u pacjentów dorosłych. Stwierdzono istotnie wyższą medianę procentowej zmiany częstości napadów na 28 dni (-38,4% vs -76,5%; $p < 0,0001$) oraz istotnie wyższy odsetek pacjentów, u których stwierdzono 50% redukcję częstotliwości napadów (39,5% vs 64,2%; $p = 0,0019$). W okresie podtrzymania dawki, u 12,3% pacjentów w grupie placebo oraz 30,9% w grupie perampanelu stwierdzono ustąpienie pierwotnie uogólnionych napadów toniczno-klonicznych. Brak napadów padaczkowych stwierdzono u 4,9% pacjentów w grupie placebo oraz 23,5% w grupie perampanelu.*
- *Fogarasi 2020 – badanie jednoramienne open-label, oceniające skuteczność perampanelu w leczeniu padaczki lekoopornej z pierwotnie uogólnionymi napadami toniczno-klonicznymi oraz napadami ogniskowymi u pacjentów od 4 do 12 r.ż. W obydwu grupach stwierdzono redukcję częstości napadów oraz obecność pacjentów wolnych od napadów padaczkowych, co jest spójne z wynikami wcześniejszych ocen.*

W odnalezionych wytycznych klinicznych (PTN 2020, PTE 2019, NICE 2021, SIGN 2021, SIGN 2018, AAN/AES 2018) perampanel znajduje miejsce w terapii dodanej drugiego rzutu leczenia padaczki ogniskowej.

Problem ekonomiczny

Wg informacji od eksperta klinicznego, potencjalnie perampanelem leczonych może być ok. 1600 pacjentów/rok. W zależności od przyjętych źródeł danych (dawkowania oraz kosztowych), dzienny koszt stosowania leku u jednego pacjenta wyniesie od 23,73 do ████████, a roczny od 8.669,20 do ████████. Wg informacji MZ w latach 2021-2022 sprowadzono w ramach importu docelowego łącznie 56 opakowań produktu Fycompa (za kwotę 28.304,08 zł) dla tylko 9 pacjentów. Zgodnie z polskimi wytycznymi (PTE 2019) perampanel należy do grupy leków rekomendowanych w terapii dodanej drugiego rzutu leczenia padaczki; w grupie tej wymieniono jeszcze osiem innych leków (m.in. starszych i tańszych). Wobec tego, potencjalna liczba 1600 pacjentów/rok wydaje się znacznie przeszacowana.

Główne argumenty decyzji

Dostępne argumenty z publikacji naukowych oraz rekomendacje kliniczne wskazują na skuteczność leku we wnioskowanych wskazaniach.

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 2022 r., poz. 463), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności wydawania zgody na refundację nr: OT.4211.6.2022 „Fycompa we wskazaniach: padaczka lekooporna, padaczka lekooporna z napadami ogniskowymi”. Data ukończenia: 03.08.2022 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy: firm farmaceutycznych, których dane m.in. o cenach leków, zawarte są w bazie EURIPID.

Zakres wyłączenia jawności:

Podstawa prawna wyłączenia jawności: art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (t.j. Dz. U. 2022 r., poz. 902 z późn. zm.) w zw. z art. 11 ust. 2 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (t.j. Dz. U. z 2022 r., poz. 1233 z późn. zm.).

Organ dokonujący wyłączenia jawności: Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: firmy farmaceutyczne, których dane m.in. o cenach leków, zawarte są w bazie EURIPID.