



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 63/2022 z dnia 11 lipca 2022 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację produktu
lecniczego Livmarli (maralixibat) we wskazaniu: świąd skóry
w przebiegu zespołu Alagille'a

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne wydawanie zgód na refundację produktu leczniczego Livmarli (maralixibat), roztwór doustny, 9,5 mg/ml, we wskazaniu: świąd skóry w przebiegu zespołu Alagille'a, z uwagi na bardzo wysoki koszt objawowej terapii.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Zespół Alagille'a o choroba rzadko występująca, wrodzony, wielonarządowy zespół charakteryzujący się przewlekłą cholestazą wewnątrzwątrobową spowodowaną zmniejszeniem liczby międzyzrądkowych przewodów żółciowych. Świąd skóry, wynikający z dużego stężenia kwasów żółciowych należy do najbardziej przykrych i uporczywych objawów zespołu Alagille'a. Wytyczne kliniczne w pierwszej linii leczenia wskazują najczęściej na zastosowanie cholestyraminy oraz kwasu ursodeoksycholowego. W kolejnych liniach leczenia na ogół wymienia się możliwość stosowania: ryfampicyny, naltreksonu oraz sertraliny. Livmarli (maralixibat) jest odwracalnym inhibitorem transportera kwasów żółciowych jelita, zarejestrowanym przez FDA w 2021 roku i posiadającym w EMA status leku sierocego, skutecznie zmniejszającym świąd.

Dowody naukowe

Badanie z randomizacją CONIC wykazało znamiennej statystycznie redukcję objawów świądu w grupie maralixibatu. Najczęstsze zdarzenia niepożądane dotyczyły przewodu pokarmowego. Większość zdarzeń niepożądanych miała charakter samoograniczający się i miała nasilenie łagodne do umiarkowanego.

Problem ekonomiczny

Aktualna populacja z zespołem Alagille'a i silnym świądem wynosi ok. 30 osób. Roczny koszt stosowania produktu leczniczego Livmarli u jednego pacjenta wynosi ok. 1,86 mln PLN. Koszt pełnej terapii (przyjmując długość jej trwania na poziomie 2,6 lat) wynosi ok. 4,83 mln PLN. Roczny koszt leczenia wśród szacowanej populacji docelowej to ok. 30,16 mln PLN dla pierwszego roku oraz



55,68 mln PLN dla drugiego roku refundacji, przy założeniu braku zmian parametrów (wiek oraz masa ciała dziecka rozpoczynającego leczenie).

Główne argumenty decyzji

- *Bardzo wysoki koszt terapii, która ma działanie wyłącznie objawowe.*

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 nr: OT.4211.7.2022 „Livmarli (maraliksibat) we wskazaniu: świąd skóry w przebiegu zespołu Alagille’a”, data ukończenia: 7 lipca 2022 r.