



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 129/2023 z dnia 6 listopada 2023 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku
Thiola (tiopronina) we wskazaniach: cystynuria, nawrotowa
kamica nerkowa i moczowodowa, kamica nerkowa
obustronna uwarunkowana genetycznie

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację leku Thiola (tiopronina) we wskazaniach: cystynuria, nawrotowa kamica nerkowa i moczowodowa, kamica nerkowa obustronna uwarunkowana genetycznie pod warunkiem braku możliwości importu produktu leczniczego Captimer (tiopronina).

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Zlecenie dotyczy produktu leczniczego Thiola (tiopronina), tabletki 250 mg, opakowanie á 100 tabletek. Rada oceniała 2020 i 2013 roku lek z substancją czynną tiopronina, tj. produkt leczniczy Captimer. Zarówno Rada Przejrzystości, jak i Prezes Agencji uznali za zasadne wydawanie zgód na refundację leku Captimer (tiopronina) we wskazaniach: cystynuria, nawrotowa kamica nerkowa i moczowodowa oraz kamica nerkowa obustronna uwarunkowana.

Dowody naukowe

Odnaleziono 2 przeglądy systematyczne spełniające kryteria włączenia i opublikowane po dacie przeglądu systematycznego przeprowadzonego w 2020 roku. Są to przeglądy Ripa 2023 oraz Melessen 2020. Do przeglądu Ripa 2023 włączono 1 badanie dotyczące oceny tioproniny, w którym oceniano tioproninę: stosowaną w skojarzeniu z cytrynianem potasu. W badaniu tym nie zareportowano żadnych zdarzeń niepożądanych związanych ze stosowaniem tioproniny lub cytrynianu potasu. Zarówno wydalanie cytrynianu potasu z moczem, jak i pH moczu znacznie wzrosły w okresie obserwacji, a u 66,7% kohorty badanych pacjentów nie występowały żadne kolejne kamienie. W przeglądzie Melessen 2020 uwzględniono 8 badań dotyczących tioproniny. Wszystkie badania wykazały korzystny wpływ farmakoterapii dodanej do nawadniania, alkalizacji i diety ubogiej w metioninę na SE (Stone Events) i UCE

(Urinary Cystine Excretion). Terapia tioproniną spowodowała poprawę w zakresie SE i UCE we wszystkich badaniach.

Problem ekonomiczny

Szacunkowa cena sprzedaży produktu leczniczego Thiola (tiopronina) wynosi 13.756,22 zł za opakowanie 250 mg, 100 tabletek. W okresie styczeń 2022 r. – sierpień 2023 r. wydano zgody na refundację 241 opakowań produktu leczniczego Thiola dla 14 pacjentów. Aktualny wpływ na wydatki płatnika publicznego finansowania produktu leczniczego Thiola wynosi ok. 2 mln zł w skali roku.

Średni koszt jednego opakowania preparatu Captimer (tiopronina) tabletki 250 mg, 100 tabletek wynosił 405,5 zł netto. Preparat Thiola zawierający tę samą ilość substancji czynnej tiopronina co Captimer jest, zatem, znacznie droższy. Stanowi to przesłankę dla uzależnienia zasadności wydawania zgód na refundację preparatu Thiola od braku dostępności preparatu Captimer.

Analitycy Agencji nie odnaleźli informacji, czy lek Captimer (tiopronina) jest nadal dostępny i czy możliwy byłby jego import.

Główne argumenty decyzji:

- dowody naukowe dokumentujące skuteczność i bezpieczeństwo leczenia tioproniną w omawianych wskazaniach;
- rekomendacje kliniczne zalecające stosowanie tioproniny w omawianych wskazaniach;
- pozytywne opinie krajowych ekspertów;
- niższy koszt leczenia preparatem Captimer (tiopronina) stanowi przesłankę dla uzależnienia zasadności wydawania zgód na refundację preparatu Thiola od braku dostępności preparatu Captimer.

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 2022 r., poz. 2561 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 2023 r., poz. 2555 z poz. 826), z uwzględnieniem raportu nr: OT.4211.19.2023 „Thiola (tiopronina) we wskazaniach: cystynuria, nawrotowa kamica nerkowa i moczowodowa, kamica nerkowa obustronna uwarunkowana genetycznie”; data ukończenia opracowania 2 listopada 2023, będącego aneksem do raportu nr. OT.4311.9.2020