Stanowisko Rady Przejrzystości nr 71/2025 z dnia 9 czerwca 2025 roku w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Edarabid (edarawon) we wskazaniu: stwardnienie zanikowe boczne

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne wydawanie zgód na refundację produktu leczniczego Edarabid (edaravone), iniekcje 30 mg/20 ml, we wskazaniu: stwardnienie zanikowe boczne.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Produkt leczniczy Edarabid we wskazaniu stwardnienie zanikowe boczne (ang. amyotrophic lateral sclerosis, ALS) podlegał wcześniejszej ocenie Agencji w ramach importu docelowego w 2021 r., kiedy to uzyskał negatywną ocenę Rady Przejrzystości oraz Prezesa Agencji. Rada Przejrzystości wskazała na nieprzekonujące dowody odnośnie skuteczności leku oraz brak akceptacji EMA.

Dowody naukowe

W okresie od ostatniej oceny nie pojawiły się nowe dowody naukowe wskazujące na skuteczność terapii. Lek nadal nie jest zarejestrowany przez EMA i nie znajduje miejsca w wytycznych towarzystw naukowych.

Problem ekonomiczny

Dodatkowo koszt stosowania edarawonu u połowy pacjentów obecnie stosujących riluzol wynosiłby ok. 20,7 mln zł rocznie, natomiast w przypadku wszystkich pacjentów około 41,5 mln zł.

Główne argumenty decyzji

- *Brak dobrych dowodów naukowych na skuteczność terapii.*
- *Potencjalnie duży koszt terapii.*
- *Dostępność dla polskich pacjentów do riluzolu - leku skuteczniejszego.*

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 2024 r., poz. 146) 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 2024 r., poz. 930 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności wydawania zgody na refundację nr: OT.4211.7.2025 (Aneks do opracowania nr: OT.4211.2.2021) „Edarabid (edarawon) we wskazaniu: stwardnienie zanikowe boczne"; data ukończenia: 4 czerwca 2025 r.