



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 156/2025 z dnia 27 października 2025 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku Fycompa
(perampanelum) we wskazaniach: padaczka lekooporna, padaczka
lekooporna z napadami ogniskowym

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

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Opinia dotyczy zasadności wydawania zgód na refundację w ramach importu docelowego produktu leczniczego Fycompa (perampanelum) we wskazaniach: padaczka lekooporna oraz padaczka lekooporna z napadami ogniskowym.

Padaczka (ICD-10: G40) jest przewlekłą chorobą mózgu cechującą się trwałą skłonnością do występowania napadów padaczkowych nieprovokowanych lub odruchowych. Napad padaczkowy jest skutkiem wystąpienia przemijającej, nieprawidłowej, nadmiernej lub synchronicznej czynności komórek mózgu, co prowadzi do pojawienia się stereotypowych epizodów o nagłym początku, w czasie których mogą występować zaburzenia świadomości, zachowania, emocji, czynności ruchowych, czuciowych lub wegetatywnych, dostrzegane przez chorego lub jego otoczenie. U ~30% chorych występuje jednak padaczka lekooporna. Następstwami odpornej padaczki mogą być dysfunkcje i utrata niezależności, zaburzenie funkcji intelektualnych oraz większa możliwość wystąpienia objawów neurotoksycznych. Śmiertelność chorych na padaczkę jest 2-4 razy większa niż w populacji ogólnej. Przyczyną zgonu może być bezpośrednio napad padaczkowy, zwłaszcza stan padaczkowy (10%), wypadek i obrażenia ciała związane z napadem (5%), samobójstwo (7-22%) lub brak uchwytanego powodu – tzw. nagły nieoczekiwany zgon chorego na padaczkę (ok. 10%). Największe ryzyko zgonu jest u chorych z nieopanowanymi napadami.

Lek Fycompa (tabletki oraz zawiesina doustna) był wcześniej raz przedmiotem oceny w Agencji w ramach importu docelowego w 2022 r. - wydano pozytywne

Stanowisko Rady Przejrzystości (nr: 40/2022) oraz Rekomendację (nr: 75/2018) dla wydawania zgód na refundację powyższego preparatu.

Dowody naukowe

Perampanel był oceniany w trzech dużych analizach obejmujących różne populacje pacjentów z lekooporną padaczką, w tym z napadami ogniskowymi. W badaniu Fan 2023, obejmującym 34 badania (głównie retrospektywne), wykazano, że perampanel jako terapia wspomagająca charakteryzuje się dobrą retencją leczenia, szczególnie w pierwszych 6 miesiącach [dzieci: 77% (95%CI: 62–91%); dorośli: 77% (95%CI: 68–87%), choć wskaźnik ten spadał w kolejnych okresach. Skuteczność leczenia rosła wraz z czasem terapii — u dorosłych osiągając nawet 85% (95%CI: 72–92%) po 36 miesiącach. Odsetek pacjentów wolnych od napadów również wzrastał [do 59% (95%CI: 44–72%) po 36 miesiącach u dorosłych]. Działania niepożądane zgłaszało 29% dzieci (95%CI: 21–37%) i 41% dorosłych (95%CI: 33–50%), najczęściej w początkowej fazie leczenia, obejmujące m.in. senność, zawroty głowy i objawy behawioralne. W badaniu Bresnahan 2023, obejmującym 7 randomizowanych badań z udziałem 2524 dorosłych uczestników, perampanel wykazał istotną skuteczność w redukcji częstości napadów o $\geq 50\%$ [RR = 1,67 (95%CI: 1,43–1,95)], przy czym najwyższą skuteczność obserwowano przy dawce 12 mg/dobę [RR = 2,38 (95%CI: 1,86–3,04)]. Całkowita remisja napadów była rzadsza [RR = 2,50; (95%CI: 1,38–4,54)]. Leczenie wiązało się z wyższym ryzykiem działań niepożądanych [RR = 1,17 (95%CI: 1,10–1,24)] oraz przerwania terapii [RR = 1,30 (95%CI: 1,03–1,63)], szczególnie przy dawce 12 mg/dobę [RR = 1,77 (95%CI: 1,31–2,40)]. Najczęstsze działania niepożądane to zawroty głowy [RR = 2,87 (99%CI: 1,45–5,70)] i senność [RR = 1,76 (99%CI: 1,02–3,04)].

W analizie sieciowej Deng 2025, obejmującej 53 badania i 13 700 uczestników, perampanel wykazał umiarkowaną skuteczność w osiągnięciu $\geq 50\%$ redukcji napadów [RR = 1,72 (95%CI: 1,21–2,44)], jednak w rankingu SUCRA uzyskał jedną z najniższych ocen skuteczności (24,7%). W zakresie bezpieczeństwa, perampanel był istotnie częściej związany z występowaniem zawrotów głowy w porównaniu z placebo, ale nie wykazano zwiększonego ryzyka innych działań niepożądanych (np. senność, bóle głowy, ataksja).

Problem ekonomiczny

Refundacja preparatu w ramach importu docelowego wiąże się z akceptowalnym wzrostem wydatków dla płatnika publicznego.

Główne argumenty decyzji

- Brak skutecznej, alternatywnej farmakoterapii;
- Brak podstaw do zmiany wcześniejszej decyzji Rady Przejrzystości.

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 2025 r. poz. 907), z uwzględnieniem opracowana na potrzeby oceny zasadności wydawania zgody na refundację nr: DPL.4211.1.2025 (Aneks do opracowania nr: OT.4211.6.2022) „Fycompa we wskazaniach: padaczka lekooporna, padaczka lekooporna z napadami ogniskowymi”, data ukończenia: 22 październik 2025 r.