



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 163/2013 z dnia 12 sierpnia 2013 r.
w sprawie oceny leku Fabrazyme (agalzydaza beta)
kod EAN 5909990971213 w programie lekowym
„Leczenie choroby Fabry’ego”

Rada Przejrzystości uważa za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Fabrazyme (agalzydaza beta) we wskazaniu długotrwała enzymatyczna terapia zastępcza u pacjentów z potwierdzonym rozpoznaniem choroby Fabry’ego (niedobór alfa-galaktozydazy A), w ramach programu lekowego: „Leczenie choroby Fabry’ego”.

Uzasadnienie

Lek Fabrazyme (agalzydaza beta) jest propozycją leczenia przyczynowego w chorobie Fabry’ego. Opublikowane dotychczas wyniki badań nie wskazują jednak na jego istotny wpływ na długość życia pacjentów lub czas do progresji objawów choroby, a badania uwzględniające jakość życia chorych przynoszą zróżnicowane i niejednoznaczne rezultaty. Pozytywne wyniki uzyskiwane są najczęściej w parametrach laboratoryjnych, patofizjologicznych i patomorfologicznych, a w parametrach istotnych klinicznie dotyczą jedynie niektórych wymiarów jakości życia oraz wybranych powikłań związanych z postępem choroby. Wiadomo również, że jest to terapia obciążona większą liczbą zdarzeń niepożądanych w porównaniu z brakiem ERT. Dodatkowo, z powodu bardzo wysokiej ceny, lek wielokrotnie przekracza próg efektywności kosztowej przyjęty w Polsce. W podejmowaniu decyzji uwzględniono również zasadę, że w przypadku chorób rzadkich, do których należy choroba Fabry’ego, liczba dowodów naukowych na skuteczność terapii może być nieco mniejsza w porównaniu z powszechnymi chorobami a próg efektywności kosztowej wyższy niż powszechnie przyjmowany. W odniesieniu do proponowanego programu lekowego należy zauważyć, że większość badań dotyczących skuteczności leku przeprowadzonych było na osobach pełnoletnich z objawami choroby oraz wykazywało istotne różnice w reakcji na lek pomiędzy kobietami i mężczyznami. Dlatego słabo uzasadnione wydaje się objęcie terapią wszystkich osób powyżej 8 roku życia, bez objawów choroby, w oparciu jedynie o badania laboratoryjne i molekularne. Niezbyt precyzyjne kryteria wyłączenia niosą ryzyko niezasadnego przedłużania nieskutecznej i kosztownej terapii. W chwili obecnej trwają badania kliniczne nad wpływem agalzydazy beta



na przebieg choroby, których wyniki mogą być uwzględnione w ponownej ocenie skuteczności produktu.

Przedmiot wniosku

Zlecenie Ministra Zdrowia z dnia 29.05.2013 r. (znak: MZ-PLA-460-12499-719/LP/13, data wpływu do AOTM 31.05.2013 r.) na podstawie art. 35 ust. 1 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego i wyrobów medycznych dotyczy objęcia refundacją produktu leczniczego Fabrazyme 5 mg, agalzydaza beta, op. 1 fiolka kod EAN5909990013654 oraz Fabrazyme 35 mg, agalzydaza beta, op. 1 fiolka, kod EAN5909990971213 we wskazaniu wynikającym ze złożonego wniosku: długotrwała enzymatyczna terapia zastępcza u pacjentów z potwierdzonym rozpoznaniem choroby Fabry'ego (niedobór beta-galaktozydazy A) w ramach uzgodnionego programu lekowego: „Leczenie choroby Fabry'ego”.

Niniejsze stanowisko dotyczy: Fabrazyme 35 mg, agalzydaza beta, op. 1 fiolka, kod EAN 5909990971213.

Problem zdrowotny

Jak w stanowisku 162/2013.

Opis wnioskowanej technologii medycznej

Jak w stanowisku 162/2013.

Alternatywne technologie medyczne

Jak w stanowisku 162/2013.

Skuteczność kliniczna

Jak w stanowisku 162/2013.

Skuteczność praktyczna

Jak w stanowisku 162/2013.

Bezpieczeństwo stosowania

Jak w stanowisku 162/2013.

Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka

Jak w stanowisku 162/2013.

Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

Jak w stanowisku 162/2013.

Wpływ na budżet płatnika publicznego

Jak w stanowisku 162/2013.

Rozwiązania proponowane w analizie racjonalizacyjnej

Jak w stanowisku 162/2013.

Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej

Jak w stanowisku 162/2013.

Dodatkowe uwagi Rady

Jak w stanowisku 162/2013.

Biorąc pod uwagę powyższe argumenty, Rada Przejrzystości przyjęła stanowisko jak na wstępie.

.....
Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości
prof. Rafał Suwiński

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych AOTM-BP-4351-1/2013, Wniosek o objęcie refundacją leku Fabrazyme (agalzydaza beta) w ramach programu lekowego: Leczenie choroby Fabry'ego, sierpień 2013.

Inne wykorzystane źródła danych, oprócz wskazanych w ww. raporcie:

1. Stanowisko przedstawiciela pacjentów przedstawione na posiedzeniu 12 sierpnia 2013r..