



Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 178/2013 z dnia 26 sierpnia 2013 r.

w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego Gammalon (kwas gamma-aminomasłowy) we wskazaniach: porażenie dziecięce, postać mózdkowa, brak rozwoju mowy, niedosłuch obustronny; stwardnienie zanikowe boczne; brak lub opóźniony rozwój mowy; opóźniony rozwój psychoruchowy, głównie mowy i funkcji poznawczych; autyzm dziecięcy, opóźniony rozwój psycho-ruchowy, znaczne opóźnienie mowy; Zespół Potocki-Lupski; brak rozwoju mowy czynnej oraz pełnego rozumienia; Zespół łamliwego chromosomu X – brak rozwoju mowy

Rada Przejrzystości uważa za nieuzasadnione wydawanie zgody na refundację produktu leczniczego Gammalon (kwas gamma-aminomasłowy) we wskazaniach: porażenie dziecięce, postać mózdkowa, brak rozwoju mowy, niedosłuch obustronny; stwardnienie zanikowe boczne; brak lub opóźniony rozwój mowy; opóźniony rozwój psychoruchowy, głównie mowy i funkcji poznawczych; autyzm dziecięcy, opóźniony rozwój psycho-ruchowy, znaczne opóźnienie mowy; Zespół Potocki-Lupski; brak rozwoju mowy czynnej oraz pełnego rozumienia; Zespół łamliwego chromosomu X – brak rozwoju mowy.

Uzasadnienie

Brak jest dowodów na temat skuteczności tego środka, opublikowanych w czasopiśmie o zasięgu międzynarodowym, uzyskanych w badaniach naukowych przeprowadzonych zgodnie z aktualnymi standardami. Lek ten nie jest zarejestrowany w Unii Europejskiej i USA.

Przedmiot wniosku

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy zbadania zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego Gammalon (kwas gamma-aminomasłowy), tabletki á 250 mg we wskazaniach:

- mózgowe porażenie dziecięce, postać mózdkowa, brak rozwoju mowy, niedosłuch obustronny;
- SLA – stwardnienie zanikowe boczne;
- brak lub opóźniony rozwój mowy;
- opóźniony rozwój psychoruchowy, głównie mowy i funkcji poznawczych;
- autyzm dziecięcy, opóźniony rozwój psycho-ruchowy, znaczne opóźnienie mowy;
- Zespół Potocki-Lupski;



- brak rozwoju mowy czynnej oraz pełnego rozumienia;
- zespół łamliwego chromosomu X – brak rozwoju mowy

przy założeniu, że wykorzystano u pacjenta dostępne alternatywne metody leczenia lub istnieją przeciwwskazania do prowadzenia terapii z użyciem takich metod.

Zlecenie z art. 31 e ust. 1 ustawy o z dnia 24 sierpnia 2004 roku o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2008 r. Nr 164, poz.1027 z późn. zm.) oraz art. 39 ust. 3 ustawy z dnia 12 maja 2012 roku o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. Nr 122, poz.696 z późn. zm.).

Wskazany produkt leczniczy jest sprowadzany z zagranicy zgodnie z art. 4 ustawy z dnia 6 września 2001 r. Prawo farmaceutyczne (Dz.U. z 2008 r. Nr 45, poz. 271, z późn. zm.), gdyż na terenie Polski nie jest dopuszczony do obrotu.

Problem zdrowotny

Mózgowe porażenie dziecięce to grupa schorzeń rozwojowych ruchu i postawy, które w postaci mózdkowej charakteryzują się obniżonym napięciem mięśniowym. Często u chorych występuje także upośledzenie umysłowe, zaburzenia mowy, wzroku, słuchu czy padaczka. Częstość występowania tej choroby szacuje się na 2/1000 żywych urodzeń.

Stwardnienie zanikowe boczne to postępujące, wybiórcze uszkodzenie obwodowego i ośrodkowego neuronu ruchowego, które objawia się osłabieniem i niedowładem kończyn, brakiem zaburzeń czucia, a w konsekwencji prowadzi do niewydolności oddechowej. Częstość występowania tej choroby szacuje się na 5/100 000 osób.

Brak lub opóźniony rozwój mowy może występować z lub bez trudności w jej rozumieniu. Dzieci najczęściej komunikują się gestami, a pierwsze słowa wypowiadają po 2. roku życia. Charakterystyczna jest także nadmierna aktywność lub skłonność do odosobnienia, trudności w skupianiu uwagi, brak umiejętności zabawy w gronie rówieśników.

Opóźniony rozwój psychoruchowy to zwolnienie tempa rozwoju w zakresie funkcji psychicznych i ruchowych, którym mogą towarzyszyć nieprawidłowości w spostrzeganiu wzrokowym, słuchowym, opóźnienia w rozwoju mowy lub zaburzenia artykulacji. Niniejsze opóźnienia oddziałują na rozwój innych funkcji dziecka, a w konsekwencji jego zachowanie, tj.: pobudliwość, agresję lub zahamowanie aktywności, smutek.

Autyzm dziecięcy to spektrum zaburzeń rozwoju w zakresie relacji społecznych, zachowania, komunikacji i funkcji poznawczych, którym mogą towarzyszyć zaburzenia snu, rozwoju mowy, upośledzenie umysłowe, nadpobudliwość czy padaczka. Szacuje się, że występuje on u $\geq 1\%$ populacji.

Zespół Potocki-Lupski to zespół wad wrodzonych spowodowanych przez chromosomowe mikroduplikacje. Objawia się, m.in.: hipotonią, opóźnieniem rozwojowym, autyzmem, nadpobudliwością, wadami serca. Częstość występowania tej choroby szacuje się na 1/25 000 urodzeń.

Brak rozwoju mowy czynnej może przebiegać z opóźnionym nabywaniem zdolności ekspresyjnych i/lub percepcyjnych przed rozwojem mowy dziecka (afazja wrodzona) lub występować jako utrata wcześniej wykształconych czynności mowy (afazja nabyta). Najczęściej jego przyczyną jest uszkodzenie ośrodków w mózgu.

Zespół łamliwego chromosomu X to choroba genetyczna charakteryzująca się obniżeniem poziomu rozwoju intelektualnego, cechami autystycznymi, czasami opóźnieniem rozwoju psychoruchowego, mowy oraz zaburzeniami zachowań. Częstość występowania tej choroby szacuje się na 1/4-6 000 urodzeń płci męskiej.

Opis wnioskowanej technologii medycznej

Produkt leczniczy Gammalon zawiera substancję czynną kwas gamma-aminomasłowy (GABA), główny neuroprzekaźnik hamujący w OUN ssaków. Wiele danych przemawia za tezą, że GABA jest mediatorem działania hamującego lokalnych interneuronów w mózgu i może być również mediatorem hamowania presynaptycznego w obrębie rdzenia kręgowego. GABA jest również mediatorem hamowania w obrębie kory mózgu i między jądrem ogoniastym a istotą czarną.

W związku z brakiem dostępu do ChPL Gammalon, nie podano informacji na temat jego zarejestrowanych wskazań. Wyniki tłumaczenia japońskiej ulotki wskazały, że oceniany produkt leczniczy wykorzystywany jest w przypadkach objawów związanych z następstwami urazów głowy (ból głowy, ospałość, łatwe męczenie się, uczucie gorąca, szum w uszach, utrata pamięci, zaburzenia snu, zmniejszenie motywacji).

Nie odnaleziono informacji na temat rejestracji Gammalonu na stronach internetowych innych instytucji zajmujących się rejestracją leków tj.: EMA (Europa), FDA (Stany Zjednoczone) oraz MHRA (Wielka Brytania).

Alternatywne technologie medyczne

Zgodnie z wytycznymi klinicznymi we wskazaniach: autyzm dziecięcy, opóźniony rozwój psychoruchowy, znaczne opóźnienie mowy; zespół Potocki-Lupski i zespół łamliwego chromosomu X – brak rozwoju mowy nie zaleca się leczenia farmakologicznego. W stwardnieniu zanikowym bocznym stosuje się riluzol, który jest aktualnie refundowany w Polsce w tym wskazaniu. Wg polskich wytycznych klinicznych w mózgowym porażeniu dziecięcym, postać mózdkowa, brak rozwoju mowy, niedosłuch obustronny można stosować piracetam. Dla pozostałych wskazań nie odnaleziono technologii aktualnie zalecanych w wytycznych klinicznych i/lub finansowanych ze środków publicznych w Polsce.

Skuteczność kliniczna i bezpieczeństwo stosowania

Brak badań dotyczących skuteczności klinicznej ocenianej interwencji w przedmiotowych wskazaniach.

Brak badań dotyczących bezpieczeństwa stosowania ocenianej interwencji w przedmiotowych wskazaniach. Wyniki tłumaczenia japońskiej ulotki dotyczącej Gammalonu wskazały, że po jego zastosowaniu mogą wystąpić zdarzenia niepożądane, takie jak.: anoreksja, biegunka, zaparcia, nudności (częstość < 1%).

Skuteczność praktyczna

Brak badań dotyczących skuteczności klinicznej ocenianej interwencji w przedmiotowych wskazaniach.

Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka

Nie dotyczy.

Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

Nie dotyczy.

Wpływ na budżet płatnika publicznego

Aktualnie produkt leczniczy Gammalon nie posiada ważnego pozwolenia na dopuszczenie do obrotu na terytorium Rzeczypospolitej Polskiej. Jednak może być on sprowadzany z zagranicy, jeżeli jego zastosowanie jest niezbędne dla ratowania życia lub zdrowia pacjenta (na warunkach i w trybie określonym w art. 4 ustawy z dnia 6 września 2001 r. – Prawo farmaceutyczne), tj. na podstawie zapotrzebowania, wystawianego przez szpital albo lekarza prowadzącego leczenie poza szpitalem, potwierdzone przez konsultanta z danej dziedziny medycyny. Na wniosek, Minister Zdrowia może wydać decyzję o objęciu refundacją sprowadzonego leku (na podstawie art. 39 ustawy o refundacji), jest on wówczas wydawany świadczeniobiorcy za opłatą ryczałtową za opakowanie jednostkowe.

W 2012 r. Minister Zdrowia wydał 89 zgód na sprowadzenie Gammalonu z Japonii, z czego na 23 zgody, które uzyskały refundację, wydano ponad 16 tys. PLN, natomiast w 2013 r. (styczeń-lipiec)

wydał on 52 zgody na sprowadzenie niniejszego leku z zagranicy, z czego 7 zgód na refundację leku związane było z kosztem ok. 4,5 tys. PLN.

Nie odnaleziono informacji na temat finansowania ze środków publicznych Gammalonu w przedmiotach wskazaniach w innych krajach.

Rozwiązania proponowane w analizie racjonalizacyjnej

Nie dotyczy.

Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej

Nie odnaleziono wytycznych klinicznych ani rekomendacji refundacyjnych dotyczących stosowania lub finansowania ze środków publicznych ocenianej interwencji w przedmiotowych wskazaniach.

Dodatkowe uwagi Rady

Brak uwag.

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

.....
Przewodniczący Rady Przejrzystości
prof. Tomasz Pasiński

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31 e ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2008 r. Nr 164, poz.1027 z późn .zm.), z uwzględnieniem raportu AOTM-OT-431-25/2013, Gammalon (kwas gamma-aminomasłowy), tabletki á 250 mg we wskazaniach: mózgowie porażenie dziecięce, postać mózdkowa, brak rozwoju mowy, niedosłuch obustronny; SLA – stwardnienie zanikowe boczne; brak lub opóźniony rozwój mowy; opóźniony rozwój psychoruchowy, głównie mowy i funkcji poznawczych; autyzm dziecięcy, opóźniony rozwój psycho-ruchowy, znaczne opóźnienie mowy; Zespół Potocki-Lupski; brak rozwoju mowy czynnej oraz pełnego rozumienia; Zespół łamliwego chromosomu X – brak rozwoju mowy, sierpień 2013 r.

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

1. Nie dotyczy.