



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 125/2016 z dnia 5 grudnia 2016 roku  
w sprawie oceny leku Translarna (ataluren) kod EAN:  
5909991276591, w ramach programu lekowego „Leczenie dystrofii  
mięśniowej typu Duchenne’a powodowanej mutacją nonsensowną  
(nmDMD) (ICD-10: G71.0)”

*Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Translarna (ataluren), 125 mg, granulki do przygotowywania zawiesiny doustnej, 30 saszetek, kod EAN: 5909991276591, w ramach programu lekowego „Leczenie dystrofii mięśniowej typu Duchenne’a powodowanej mutacją nonsensowną (nmDMD) (ICD-10: G71.0)”.*

### Uzasadnienie

*Translarna (ataluren) jest prototypowym niskocząsteczkowym lekiem modyfikującym odczyt informacji genetycznej w rybosomach i umożliwiającym wytwarzanie przez komórki białka, mimo że jego gen zawiera nonsensowną mutację. Lek ten został warunkowo zarejestrowany procedurą centralną w Unii Europejskiej w roku 2014 do leczenia bardzo rzadko występującej dystrofii mięśniowej typu Duchenne’a, powodowanej mutacją nonsensowną w genie białka dystrofiny (nmDMD). Dowody na jego skuteczność w tym zastosowaniu budzą jednak poważne wątpliwości (jedynie 2,8% wzrost ekspresji dystrofiny), których wyrazem były zdania odrębne mniejszości członków Komitetu Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) Europejskiej Agencji Leków (EMA) w styczniu 2014r., oraz negatywna decyzja rejestracyjna Amerykańskiej Agencji ds. Żywności i Leków (FDA) w styczniu 2016r. Warunkowa rejestracja leku Translarna w Unii Europejskiej ma obecnie zostać przedłużona do czasu przedłożenia przez wytwórcę wyników randomizowanego badania 3 fazy, które pozwolą ustalić, czy dla stosowania leku Translarna w dystrofii mięśniowej typu nmDMD stosunek korzyści do ryzyka jest pozytywny. W tym stanie rzeczy Rada uważa, że objęcie obecnie refundacją leku Translarna w terapii dystrofii mięśniowej typu nmDMD byłoby przedwczesne.*

*Jednocześnie Rada Przejrzystości zwraca uwagę, że wnioskowana technologia, która nie zapewnia wyleczenia schorzenia, lecz co najwyżej częściowe złagodzenie jego objawów, jest krańcowo nieefektywna kosztowo.*



*Proponowany koszt leczenia dystrofii mięśniowej typu nmDMD lekiem Translarna ponad trzydziestokrotnie przekracza próg ustawowy. Zdaniem Rady żadna tak kosztowna technologia nie powinna być refundowana, niezależnie od tego, jak mało liczna jest grupa pacjentów, u których ma ona być zastosowana.*

.....  
Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości  
prof. Michał Myśliwiec

**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 (Dz. U. z 2016 r., poz. 1793 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr OT.4351.33.2016 „Wniosek o objęcie refundacją leku Translarna (ataluren) we wskazaniu: leczenie dystrofii mięśniowej typu Duchenne’a powodowanej mutacją nonsensowną (nmDMD) (ICD-10: G71.0)”.  
Data ukończenia: 25 listopada 2016 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Stanowiska przedstawicieli pacjentów przedstawione w trakcie posiedzenia.
2. Stanowisko eksperckie przedstawione w trakcie posiedzenia.