



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 307/2018 z dnia 3 grudnia 2018 roku
w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych,
w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych,
leku Carbaglu (kwas kargluminowy) we wskazaniu: acyduria
propionowa (ICD-10 E71.1)

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Carbaglu (kwas kargluminowy), tabletki á 200 mg, we wskazaniu: acyduria propionowa (ICD-10 E71.1).

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Minister Zdrowia zlecił przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych leku Carbaglu (kwas kargluminowy) we wskazaniu: acyduria propionowa (ICD-10: E71.1) w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowej. Lek jest obecnie zarejestrowany w leczeniu hiperamonemii spowodowanej pierwotnym niedoborem syntazy N-acetyloglutaminianowej, kwasicą izowalerianową, metylomalonową lub propionową. Ponieważ hiperamonemia zawsze występuje w przebiegu acydurii propionowej, wskazanie wnioskowane (acyduria propionowa) jest zbieżne ze wskazaniem zarejestrowanym.

Produkt leczniczy Carbaglu był oceniany w Agencji w 2015 roku w leczeniu hiperamonemii spowodowanej pierwotnym niedoborem syntazy N-acetyloglutaminianowej i otrzymał pozytywną rekomendację Rady i negatywną rekomendację Prezesa Agencji.

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Wyniki badań klinicznych wskazują na skuteczność kliniczną Carbaglu związaną z szybkim obniżeniem średniego stężenia amoniaku w osoczu i poprawą objawów choroby. Brak jest jednak badań wysokiej jakości, które umożliwiłyby porównanie skuteczności kwasu kargluminowego z technologią alternatywną.



Bezpieczeństwo stosowania

Profil działania leku nie wiąże się z zagrożeniami odmiennymi od tych występujących przy stosowaniu innych technologii w tym wskazaniu.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Korzyść zdrowotne wynikające z przyjmowania leku są prawdopodobnie większe od ryzyka jego stosowania.

Konkurencyjność cenowa

Wcześniejsze analizy wskazują na nieefektywność kosztową leku.

Wpływ na wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorców

Trudności w oszacowaniu populacji docelowej i czasu trwania leczenia wiążą się z dużą niepewnością dotyczącą wpływu finansowania leku na budżet płatnika.

Alternatywna technologia medyczna, w rozumieniu ustawy o świadczeniach, oraz jej efektywność kliniczna i bezpieczeństwo stosowania

Rekomendacje kliniczne dotyczące leczenia epizodów ostrej hiperamonemii zalecają benzoesan sodu, fenylomaślan sodu, fenyllooctan sodu, kwas kargluminowy (czasem wymagane stosowanie kilku leków jednocześnie) oraz hemodializę/hemofiltrację.

Główne argumenty decyzji

Lek jest obecnie zarejestrowany w leczeniu hiperamonemii, spowodowanej pierwotnym niedoborem syntazy N-acetyloglutaminianowej, kwasicy izowalerianową, metylomalonową lub propionową. Ponieważ hiperamonemia zawsze występuje w przebiegu acydurii propionowej, wskazanie wnioskowane (acyduria propionowa) jest zbieżne ze wskazaniem zarejestrowanym.

Uwagi Rady:

Rada uważa, że ze względu na dłuższy niż 3-miesięczny horyzont czasowy stosowania leku, przyjęty tryb finansowania jest niewłaściwy, gdyż nie zabezpiecza chorego na stałe.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt. 4 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2018 r., poz. 1510, z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych nr: OT.422.46.2018 „Carbaglu (kwas kargluminowy) we wskazaniu: acyduria propionowa (ICD-10: E71.1)”. Data ukończenia: 28 listopada 2018 r.