



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 29/2022 z dnia 28 lutego 2022 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną vigabatrinum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego

*Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną vigabatrinum we wskazaniu pozarejestacyjnym: stany napadowe w przebiegu stwardnienia guzowatego – monoterapia.*

#### Uzasadnienie

*Aktualny (z 2021 r.) dokument Międzynarodowej Grupy Konsensusu odnośnie Kompleksu Stwardnienia Guzowatego (ITSCCG) stwierdza, iż istnieją mocne dowody na skuteczność wigabatryny w leczeniu napadów zgięciowych związanych z TSC, dlatego jako leczenie 1. rzutu zalecana jest wigabatryna.*

*Brytyjski instytut NICE zaleca wigabatrynę jako leczenie 1. rzutu u niemowląt z napadami zgięciowymi spowodowanymi stwardnieniem guzowatym. Jeśli wigabatryna jest nieskuteczna, należy podać steroid (prednizolon lub ACTH), po starannym rozważeniu stosunku ryzyka do korzyści.*

*Zidentyfikowano 4 badania pierwotne z okresu od ostatniej opinii Rady Przejrzystości w odniesieniu do tej technologii. W tym dwa badania z równoległą grupą kontrolną i randomizowanym doborem chorych do grup.*

*W badaniu Kotulska 2021 porównano bezpieczeństwo i skuteczność profilaktycznego leczenia przeciwpadaczkowego wigabatryną, stosowaną przy pierwszym wykryciu aktywności padaczkopodobnej z konwencjonalnym leczeniem przeciwpadaczkowym rozpoczętym po wystąpieniu napadów. Mediana czasu od urodzenia do pierwszego klinicznego napadu była około 4 razy dłuższa przy leczeniu profilaktycznym niż przy konwencjonalnym (614 dni [95%CI: 364; ∞] vs 151 dni, [95%CI: 99; 215]. U pacjentów, u których wystąpiły napady: 364 dni, [95%CI: 223; 535] vs 124 dni, [95%CI: 33; 149]).*

*Jednym z celów badania EPISTOP (De Ridder 2021) było zbadanie potencjalnych korzyści profilaktycznego leczenia wigabatryną po pojawieniu się*



*wieloogniskowych międzynaopadowych wyładowań padaczkowych w EEG w porównaniu do konwencjonalnego leczenia wigabatryną po wystąpieniu napadów padaczkowych. U 16 dzieci leczonych profilaktycznie średni odstęp czasu bez napadów był statystycznie istotnie dłuższy bo wynosił 451,8 dni (95%CI: 321,4;582,2) w porównaniu do 154 dni (95%CI: 51,3; 256,7) w grupie kontrolnej 20 dzieci,*

*Nie odnaleziono jakiegokolwiek doniesienia naukowego, które nakazywałyby rewizję dotychczasowej, pozytywnej opinii Rady o tej technologii medycznej.*

#### **Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 523), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 1285 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr: OT.4220.6.2022 „Vigabatrinum we wskazaniu: stany napadowe w przebiegu stwardnienia guzowatego – monoterapia”, data ukończenia: 24 luty 2022 r.