



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

**Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 90/2018 z dnia 1 października 2018 roku
w sprawie oceny leku Cerdelga (eliglustat) w ramach programu
lekowego „Leczenie choroby Gauchera typu I u dorosłych
z zastosowaniem eliglustatu (ICD-10 E75.2)”**

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Cerdelga (eliglustat), kapsułki twarde, 84 mg, 56 kapsułek, kod EAN: 5909991205942, w ramach wnioskowanego programu lekowego „Leczenie choroby Gauchera typu I u dorosłych z zastosowaniem eliglustatu (ICD-10 E75.2)”.

Jednocześnie Rada Przejrzystości, mając na względzie aktualnie funkcjonujące programy lekowe dla leczenia choroby Gauchera Typu I (osobne dla leku welaglucerazy alfa i leku imiglucerazy) oraz wnioski o finansowanie w ramach programu lekowego eliglustatu, a także biorąc pod uwagę, iż żaden z trzech analizowanych leków nie wykazuje zdecydowanej przewagi klinicznej, stoi na stanowisku, iż istniejące programy należy scalić i w tych ramach objąć refundacją produkt leczniczy Cerdelga (eliglustat), kapsułki twarde, 84 mg, 56 kapsułek, kod EAN: 5909991205942 i wydawanie go bezpłatnie, w ramach nowej grupy limitowej, wspólnej dla wszystkich ww. substancji stosowanych w leczeniu choroby Gauchera.

Rada Przejrzystości nie akceptuje propozycji instrumentu dzielenia ryzyka uznając go za niewystarczający.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Choroba Gauchera - dziedziczona w sposób recesywnie autosomalny - rzadka (50-100 chorych w Polsce) lizosomalna choroba spichrzeniowa prowadzi to do obniżenia aktywności enzymu glukocerebrozydazy, który hydrolizuje glukozyloceramid do ceramidu i glukozy.

Metody leczenia obejmują:

- enzymatyczną terapię zastępczą (ang. enzyme replacement therapy; ERT),*
- terapię redukującą substrat (ang. substrate reduction therapy; SRT).*



Dowody naukowe

Za adekwatny komparator dla stosowania wnioskowanego eliglustatu w długotrwałym leczeniu dorosłych pacjentów z chorobą Gauchera typu 1 uznawane są leki ERT - imigluceraza oraz welagluceraza alfa, oba aktualnie finansowane ze środków publicznych w ramach dwóch osobnych programów lekowych NFZ.

W badaniu ENCORE nie wykazano statystycznie znamiennej różnicy w skuteczności na korzyść eliglustatu, w stosunku do imiglucerazy, w prawie wszystkich analizowanych punktach końcowych. W odniesieniu do bezpieczeństwa, w 12-miesięcznym okresie obserwacji zdarzenia niepożądane występowały częściej w grupie eliglustatu. Zatem efektywność kliniczną eliglustatu należy uznać za nieco niższą niż imiglucerazy. Wyniki te stanowiły powód odrzucenia wniosku o wpisanie eliglustatu na listę leków refundowanych w leczeniu choroby Gauchera typu I przez australijską agencję PBAC.

Problem ekonomiczny

Wprowadzenie leku do refundacji nie powinno spowodować zwiększenia wydatków płatnika publicznego ponoszonych na leczenie choroby Gauchera typu 1.

Główne argumenty decyzji

Mając na względzie poszerzenie opcji terapeutycznej dla pacjentów z chorobą Gauchera oraz wyniki badań wskazujące na brak wyraźnej przewagi poszczególnych preparatów w zakresie skuteczności oraz niezbyt duże różnice w zakresie bezpieczeństwa Rada uważa, iż zarówno wnioskowany lek, jak i dwa finansowane już w ramach programów lekowych, winny być objęte jednym wspólnym programem lekowym, pod warunkiem, że rzeczywiste, ponoszone przez płatnika publicznego koszty leczenia wnioskowanym lekiem nie będą wyższe od obecnie finansowanych preparatów.

Rada wskazuje na zasadność coraz szerszego stosowania wszystkich ww. preparatów w trybie ambulatoryjnym.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2016 r., poz. 1536 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr: OT.4331.23.2018 „Wniosek o objęcie refundacją leku Cerdelga (eliglustat) w ramach programu lekowego: »Leczenie choroby Gauchera typu I u dorosłych z zastosowaniem eliglustatu (ICD-10 E 75.2)«”. Data ukończenia: 20 września 2018.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinie przedstawiciela pacjentów i eksperta przedstawione w trakcie posiedzenia.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Genzyme Europe B.V.).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Genzyme Europe B.V.o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

Podstawa prawna wyłączenia jawności: art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2014, poz.782 z późn. zm.) w zw. z art. 11 ust. 4 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2003 r., Nr 153, poz. 1503 z późn. zm.).

Organ dokonujący wyłączenia jawności: Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji.

Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Genzyme Europe B.V.