



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 274/2019 z dnia 2 września 2019 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych,  
w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku  
Brineura (cerliponaza alfa) we wskazaniu: ceroidolipofuscynoza typu  
2 (ICD-10: E75.4)

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Brineura (cerliponaza alfa), roztwór do infuzji, fiołka á 150 mg, we wskazaniu: ceroidolipofuscynoza typu 2 (ICD-10: E75.4).*

#### Uzasadnienie

##### Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

*Lipofuscynoza neuronalna typu 2 jest rzadką lizosomalną chorobą spichrzeniową z grupy ceroidolipofuscynoz neuronalnych.*

*Rocznie rozpoznaje się w Polsce 3 nowe przypadki*

*W okresie od 1 do 1,5 roku, od pojawienia się pierwszych objawów choroby, u pacjentów diagnozuje się: zahamowanie rozwoju psychoruchowego, napady padaczkowe, ataksję, mioklonie, zanik mowy, zaburzenia widzenia, zanik funkcji chodu. W dalszym etapie postępu choroby zanika kontakt słowno-emocjonalny, wzrokowy, pojawiają się trudności w karmieniu i we wchłanianiu (następuje znaczny ubytek masy ciała), następuje uogólniony zanik mięśni i wyniszczenie somatyczne. Powoli dochodzi do stanu odkorowania w wieku 6-8 lat. Zgon chorych na tę chorobę następuje najczęściej między 6. a 12. r.ż.*

##### Skuteczność kliniczna i praktyczna

*Cerliponaza alfa jest rekombinowaną formą ludzkiej tripeptydylopeptydazy 1 (rhTPP1) podawaną bezpośrednio do komórek mózgowych.*

*Jej skuteczność oceniana za pomocą zastępczych punktów końcowych na podstawie przeglądu systemowego jest duża.*

##### Bezpieczeństwo stosowania

*Duże.*

##### Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

*Duża.*



Konkurencyjność cenowa

*Komparator nie istnieje.*

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

*Koszty trzymiesięcznej terapii dla jednego pacjenta wynoszą [REDACTED]*

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

*Nie istnieje.*

Główne argumenty decyzji

- *Lek skuteczny w chorobie o bardzo niepomyślnym przebiegu.*
- *Pozytywna opinia Rady i Prezesa z 2019 roku w sprawie programu lekowego. Zarówno Rada Przejrzystości, jak i Prezes Agencji uznali objęcie refundacją ww. technologii za zasadne. [REK 32/2019, SRP 34/2019.]*

**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 2019 r., poz. 1373), z uwzględnieniem opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, nr: OT.422.65.2019 „Brineura (cerliponaza alfa) we wskazaniu: ceroidolipofuscynoza typu 2 (ICD-10: E75.4) w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych”. Data ukończenia: 28 sierpnia 2019 r.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (BioMarin International Limited).

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem BioMarin International Limited 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 2016 r., poz. 1764 z późn. zm. ) w zw. z art. 11 ust. 4 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2018 r., poz. 419).

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

**Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności:** BioMarin International Limited.