



Rekomendacja nr 33/2024

z dnia 18 kwietnia 2024 r.

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Petinimid (etosuksymid), syrop 50 mg/ml, Petnidan Saft (etosuksymid), syrop 50 mg/ml we wskazaniach: padaczka lekooporna (w tym padaczka z napadami nieświadomości), zespół ciągłych wyładowań we śnie wolnofalowym

Prezes Agencji rekomenduje wydawanie zgód na refundację produktu leczniczego Petinimid (etosuksymid), syrop 50 mg/ml, Petnidan Saft (etosuksymid), syrop 50 mg/ml we wskazaniach: padaczka lekooporna (w tym padaczka z napadami nieświadomości), zespół ciągłych wyładowań we śnie wolnofalowym.

Uzasadnienie rekomendacji

Produkty lecznicze Petinimid (etosuksymid), syrop 50 mg/ml, Petnidan Saft (etosuksymid), syrop 50 mg/ml we wskazaniach: padaczka lekooporna (w tym padaczka z napadami nieświadomości), były oceniane przez Agencję w 2017 r. i 2021 r. Stanowisko Rady Przejrzystości oraz Rekomendacja Prezesa Agencji w obu przypadkach były pozytywne. Uznano za zasadne wydawanie zgód na refundację ww. technologii lekowej w oparciu o odnalezione dowody naukowe, wytyczne kliniczne oraz opinie eksperckie.

Przeprowadzono aktualizację analizy klinicznej w celu odnalezienia dowodów naukowych opublikowanych po dacie wyszukiwania ujętej w poprzednich dokumentach z 2017 i 2021 r. Do analizy włączono odpowiednio do wskazania: padaczka lekooporna (w tym padaczka z napadami nieświadomości) - dwa przeglądy systematyczne Cochrane Brigo 2019 oraz Brigo 2021 (aktualizacje Brigo 2017), a dla zespołu ciągłych wyładowań we śnie wolnofalowym jeden przegląd systematyczny CReER 2021 oraz jedno badanie retrospektywne Shibata 2024.

W przypadku padaczki lekoopornej (w tym padaczki z napadami nieświadomości) wnioski autorów przeglądów Brigo 2019 oraz Brigo 2021 nie zmieniają wnioskowania w stosunku do konkluzji wydanych w 2017 r. Pod względem skuteczności i bezpieczeństwa, etosuksymid stanowi optymalną monoterapię początkową dla dzieci i młodzieży z napadami nieświadomości. Na niepewność wnioskowania wpływa jednak fakt, że nie odnaleziono badań dotyczących stosowania etosuksymidu w leczeniu padaczki lekoopornej, a włączone do ww. przeglądów badania głównie dotyczyły padaczki z napadami nieświadomości.

W przypadku wskazania zespół ciągłych wyładowań we śnie wolnofalowym autorzy przeglądu CReER 2021 wskazują, że zmiana terapii na m.in. etosuksymid może poprawić obraz elektrokliniczny pacjentów, natomiast wyniki badania Shibata 2024 wskazują na odpowiedź pacjentów na leczenie etosuksymidem. Należy jednak zwrócić uwagę na niską jakość włączonych dowodów naukowych, a także na nieliczne grupy pacjentów ujęte w badaniach.

Zgodnie z wynikami uproszczonej analizy wpływu na budżet, w przypadku podjęcia pozytywnej decyzji o refundacji leków Petnidan Saft i Petinimid roczne koszty finansowania terapii dla założonej liczby pacjentów wyniosą w padaczce lekoopornej w zależności od przyjętego dawkowania od 217,6 tys. zł. do 419 tys. zł. Natomiast dla zespołu ciągłych wyładowań we śnie wolnofalowym - ok. 2,5 tys. zł dla produktu Petinimid i 4,9 tys. zł. dla Petnidan Saft. Powyższe szacunki obarczone są jednak niepewnością dotyczącą wielkości populacji docelowej, dawkowania oraz czasu trwania terapii.

Biorąc pod uwagę opinię Rady Przejrzystości, odnalezione dowody naukowe i ich ograniczenia, wytyczne kliniczne, które zalecają etosuksymid we wnioskowanych wskazaniach oraz indywidualne podejście i nie odnoszą się do zmiany terapii, jeśli jest ona skuteczna i dobrze tolerowana, rekomenduję jak na wstępie.

Przedmiot wniosku

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy oceny zasadności wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Petinimid (etosuksymid), syrop 50 mg/ml, Petnidan Saft (etosuksymid), syrop 50 mg/ml we wskazaniach: padaczka lekooporna (w tym padaczka z napadami nieświadomości), zespół ciągłych wyładowań we śnie wolnofalowym, na podstawie art. 39 ust. 3 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2023 r. poz. 826, z późn. zm.).

Problem zdrowotny

Padaczka (ICD 10: G40) jest przewlekłą chorobą mózgu, w której w sposób samoistny i nawracający dochodzi do napadów padaczkowych. *Padaczka lekooporna* jest rozpoznawana, gdy dwie kolejne próby interwencji lekowych w monoterapii lub terapii dodanej nie doprowadzą do osiągnięcia utrwalonej i pełnej kontroli napadów. W trakcie napadów padaczkowych mogą występować zaburzenia: świadomości (padaczka z napadami nieświadomości), emocji, czynności ruchowych, czuciowych lub wegetatywnych, dostrzegalne przez chorego lub jego otoczenie. W krajach rozwiniętych roczną zapadalność na padaczkę szacuje się na poziomie 50-70 na 100 tys. osób, a wskaźnik rozpowszechnienia wynosi ok. 1%. Lekooporność występuje u ok. 20–30% chorych. W Polsce padaczka dotyczy 300-400 tys. osób, więc lekooporność może dotyczyć ok. 120-130 tys. chorych.

Zespół ciągłych wyładowań podczas snu wolnofalowego (ICD 10: G40.4). Encefalopatia rozwojowa i padaczkowa z wyładowaniami iglica–fala w czasie snu (developmental epileptic encephalopathy with spike-and-wave activation in sleep – DEE-SWAS) oraz encefalopatia padaczkowa z wyładowaniami iglica–fala w czasie snu (epileptic encephalopathy with spike-and-wave activation in sleep – EE-SWAS) odnoszą się do spektrum zaburzeń, cechujących się regresją funkcji poznawczych, językowych, behawioralnych i ruchowych w różnych połączeniach oraz silną aktywacją wyładowań iglica–fala podczas snu. Głównym objawem zespołu DEE-SWAS i EE-SWAS jest regresja funkcji poznawczych, behawioralnych lub

psychicznych. Ww. encefalopatie, stanowią 0,5–0,6% wszystkich przypadków padaczki w ośrodkach epileptologii dziecięcej trzeciego stopnia referencyjności.

Alternatywna technologia medyczna

Według rekomendacji PTN z uwzględnieniem charakterystyki produktu leczniczego (ChPL) oraz systemu refundacji leków w Polsce w przypadku padaczki z napadami nieświadomości terapię podstawową (monoterapia lub terapia dodana) obok etosuksymidu stanowią: lamotrygina, lewetyracetam, topiramát, walproinian. Terapia uzupełniająca: klobazam, klonazepam.

Zgodnie z obwieszczeniem Ministra Zdrowia z dnia 18 marca 2024 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych wśród substancji czynnych, dla których we wskazaniu refundacyjnym zapisano padaczka oporna na leczenie wymienia się: brywaracetam (roztwór, tabletki powlekane), cenobamat (tabletki powlekane), gabapentynę (kapsułki twarde, tabletki powlekane), lamotryginę (tabletki, tabletki do sporządzania zawiesiny doustnej), lewetyracetam (roztwór, tabletki powlekane), lakozamid (tabletki powlekane, syrop), topiramát (tabletki powlekane), okskarbazepinę (tabletki powlekane), stiripentol (proszek do sporządzania zawiesiny doustnej, kapsułka twarda), tiagabinę (tabletki powlekane), topiramát (tabletki powlekane) oraz wigabatrynę (tabletki powlekane, granulaty do sporządzania roztworu doustnego).

Warto nadmienić, że etosuksymid (Petinimid) we wskazaniu padaczka jest dostępny w refundacji aptecznej w postaci kapsułek, które jak wynika z ChPL należy połykać w całości i mogą być stosowane przez pacjentów powyżej 3 r.ż.

Niezależnie od powyższego należy zwrócić uwagę, że etosuksymid w postaci syropu jest refundowany w ramach importu docelowego we wskazaniu padaczka lekooporna (w tym padaczka z napadami nieświadomości). W związku z tym, że wytyczne kliniczne zalecają zindywidualizowanie terapii i brak jest danych o wcześniejszych terapiach stosowanych przez pacjentów składających wnioski w ramach importu docelowego, utrudnione jest wskazanie technologii alternatywnej, która mogłaby być stosowana u tych pacjentów. Ponadto żadne z odnalezionych wytycznych klinicznych nie zawierają zaleceń dotyczących zmiany terapii, jeśli jest ona skuteczna i dobrze tolerowana.

Opis wnioskowanego świadczenia

Etosuksymid (ESM) hamuje powstawanie napadów nieświadomości, jednak nie wpływa na inne rodzaje napadów, dlatego może być konieczne zastosowanie innych leków, jeśli występują również, np. napady toniczno-kloniczne.

Zgodnie z Charakterystyką Produktu Leczniczego (ChPL) produkt leczniczy:

- Petinimid – jest wskazany w leczeniu pierwotnie uogólnionej padaczki z typowymi i nietypowymi napadami nieświadomości;
- Petnidan Saft – jest wskazany w:
 - dziecięcej padaczce z utratą świadomości (pyknolepsja) a także złożonych i nietypowych napadach nieświadomości;
 - napadach nieświadomości miokloniczno-astatyczne i młodzieńcza padaczka miokloniczna (Impulsiv-petit-mal), w przypadku nieskuteczności lub nietolerancji wcześniejszego leczenia.

Wnioskowane wskazania, tj. padaczka lekooporna (w tym padaczka z napadami nieświadomości), zespół ciągłych wyładowań we śnie wolnofalowym, wpisują się we wskazania rejestracyjne ocenianych leków.

Ocena skuteczności (klinicznej oraz praktycznej) i bezpieczeństwa

Ocena ta polega na zebraniu danych o konsekwencjach zdrowotnych (skuteczność i bezpieczeństwo) wynikających z zastosowania nowej terapii w danym problemie zdrowotnym oraz innych terapii, które w danym momencie są finansowane ze środków publicznych i stanowią alternatywne leczenie dostępne w danym problemie zdrowotnym. Następnie ocena ta wymaga określenia wiarygodności zebranych danych oraz porównania wyników dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa nowej terapii względem terapii już dostępnych w leczeniu danego problemu zdrowotnego.

Na podstawie powyższego ocena skuteczności i bezpieczeństwa pozwala na uzyskanie odpowiedzi na pytanie o wielkość efektu zdrowotnego (zarówno w zakresie skuteczności, jak i bezpieczeństwa), którego należy oczekiwać względem nowej terapii w porównaniu do innych rozważanych opcji terapeutycznych.

W ramach analizy klinicznej dla wskazania padaczka lekooporna (w tym padaczka z napadami nieświadomości) przeprowadzono aktualizację w zakresie istnienia nowych dowodów naukowych względem poprzednich rekomendacji 91/2017 i 21/2021, natomiast dla zespołu ciągłych wyładowań we śnie wolnofalowym - wyszukiwanie dowodów naukowych na potrzeby oceny skuteczności i bezpieczeństwa ocenianych technologii.

Do analizy dla wskazania:

- padaczka lekooporna (w tym padaczka z napadami nieświadomości) włączono dwa przeglądy systematyczne Cochrane Brigo 2019 oraz Brigo 2021 (aktualizacje Brigo 2017 ujętego w rekomendacjach z 2017 r. i 2021 r.), w których autorzy wskazali, że nie odnaleziono nowych dowodów naukowych w stosunku do tych włączonych do przeglądu w 2017 r. [8 badań, z czego 4 dotyczyły leczenia etosuksymidem (ESM). Liczba pacjentów wynosiła 691 osób (w tym 546 leczonych etosuksymidem) w wieku ≤ 16 lat, w 7 badaniach brało udział mniej niż 50 osób. Okres obserwacji był zróżnicowany w poszczególnych badaniach, najczęściej wynosił 12 miesięcy];
- zespół ciągłych wyładowań we śnie wolnofalowym:
 - przegląd systematyczny CReER 2021 – publikacje włączone do przeglądu odnoszące się do stosowania etosuksymidu to: przegląd systematyczny Veggiotti 2012 (1 badanie retrospektywne i 3 badania prospektywne), badania retrospektywne Carabello 2014, Carabello 2013 i opis przypadku Deonna 1997. Liczba pacjentów łącznie $N=163$. Okres obserwacji: do 12 lat. W CReER 2021 ujęto jedynie główne wnioski z tych publikacji.
 - Shibata 2024 - retrospektywne badanie w którym oceniano skuteczność leczenia ESM u pacjentów pediatrycznych z encefalopatią rozwojową i padaczkową z wyładowaniami iglica-fala w czasie snu (DEE-SWAS). Liczba pacjentów $N=20$. Brak informacji na temat okresu obserwacji.

Skuteczność i bezpieczeństwo

Brigo 2019 i Brigo 2021

Autorzy przeglądów wskazują, że wnioski pozostają takie same jak w Brigo 2017, tj. pod względem skuteczności, jak i bezpieczeństwa etosuksymid stanowi optymalną monoterapię początkową dla dzieci i młodzieży z napadami nieświadomości. Jeśli napady nieświadomości współwystępują z ogólnymi napadami toniczno-klonicznymi, zalecane jest stosowanie walproinianu (ESM jest prawdopodobnie nieskuteczny w przypadku napadów toniczno-klonicznych). W zakresie oceny bezpieczeństwa i zdarzeń niepożądanych w Brigo 2017 stwierdzono, że leczenie ESM wiązało się głównie z występowaniem nudności, wymiotów oraz zmian behawioralnych/psychiatrycznych.

CReER 2021

Wnioski ujęte w poszczególnych publikacjach włączanych do przeglądu CReER:

- Veggiotti 2012 wskazuje jako opcje terapeutyczne w encefalopatii padaczkowej z wyładowaniami iglica-fala w czasie snu: walproinian, etosuksymid, lewetyracetam, benzodiazepiny, kortykosteroidy, immunoglobuliny, leczenie chirurgiczne, dieta ketogenna.
- Caraballo 2014 najczęściej stosowaną terapią był klobazam, etosuksymid i sultiam, a ponadto stosowano wysokie dawki steroidów. Wyniki badania wskazują, że deficyty językowe utrzymywały się u 21/29 pacjentów. Według autorów odpowiednia i wcześniej podjęta terapia może pomóc zapobiec deficytom językowym i poznawczym.
- Caraballo 2013 w przypadku zastosowania etosuksymidu zaobserwowano brak odpowiedzi lub pogorszenie stanu u 3 pacjentów; pozytywną odpowiedź na leczenie etosuksymidem w monoterapii u 2 pacjentów, a w skojarzeniu z: klobazamem u 8 pacjentów, kwasem walproinowym 5 pacjentów, sultiamem 5 pacjentów, lewetyracetamem 2 pacjentów. Według autorów publikacji zmiana terapii na etosuksymid, klobazam lub sultiam może być pierwszym krokiem w leczeniu znacząco poprawiającym obraz elektrokliniczny pacjentów.
- Deonna 1997 zaburzenia poznawcze i językowe u pacjenta leczonego karbamazepiną (CBZ), ustąpiły po zmianie leczenia na klobazam, do którego następnie dodano etosuksymid.

Shibata 2024

Wyniki badania wskazują że na leczenie ESM odpowiedziało 15/20 pacjentów. W momencie rozpoczęcia leczenia ESM wszyscy pacjenci przyjmowali walproinian, w przypadku 5 pacjentów, u których nie odnotowano odpowiedzi na leczenie wnioskowaną technologią, 3 przyjmowało także sultiam.

Dodatkowe informacje o bezpieczeństwie

Zgodnie z ChPL Petinimid, 250 mg, kapsułki, podczas leczenia etosuksymidem notowano występowanie ciężkich skórnych działań niepożądanych (SCAR, ang. severe cutaneous adverse reaction), w tym zespołu Stevensa-Johnsona (SJS) oraz reakcji polekowej z eozynofilią i objawami ogólnymi (DRESS).

Ograniczenia analizy

Główne ograniczenia analizy to:

- brak badań dotyczących stosowania etosuksymidu w leczeniu padaczki lekoopornej. W przeglądzie systematycznym Cochrane – Brigo 2017 i jego aktualizacjach, z włączonych czterech badań dotyczących etosuksymidu większość obejmowała pacjentów nowozdiagnozowanych i wcześniej nieleczonych;
- niska jakość dowodów naukowych dotyczących zespołu ciągłych wyładowań we śnie wolnofalowym, włączonych do przeglądu CReER 2021, w tym brak badań z grupą kontrolną;
- badania dotyczące skuteczności i bezpieczeństwa stosowania etosuksymidu są małoliczne, co także obniża ich jakość.

Pozostałe ograniczenia ujęto w Raporcie Analitycznym.

Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka

Nie dotyczy.

Ocena ekonomiczna, w tym szacunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

Ocena ekonomiczna polega na oszacowaniu i zestawieniu kosztów i efektów zdrowotnych, jakie mogą wiązać się z zastosowaniem u pojedynczego pacjenta nowej terapii zamiast terapii już refundowanych.

Koszty terapii szacowane są w walucie naszego kraju, a efekty zdrowotne wyrażone są najczęściej w zyskanych latach życia (LYG, life years gained) lub w latach życia przeżytych w pełnym zdrowiu (QALY, quality adjusted life years) wskutek zastosowania terapii.

Zestawienie wartości dotyczących kosztów i efektów związanych z zastosowaniem nowej terapii i porównanie ich do kosztów i efektów terapii już refundowanych pozwala na uzyskanie odpowiedzi na pytanie, czy efekt zdrowotny uzyskany u pojedynczego pacjenta dzięki nowej terapii wiąże się z wyższym kosztem w porównaniu do terapii już refundowanych.

Uzyskane wyniki wskaźnika kosztów-efektów zdrowotnych porównuje się z tzw. progiem opłacalności, czyli wynikiem, który sygnalizuje, że przy zasobności naszego kraju (wyrażonej w PKB) maksymalny koszt nowej terapii, która ma wiązać się z uzyskaniem jednostkowego efektu zdrowotnego (1 LYG lub 1 QALY) w porównaniu do terapii już dostępnych, nie powinien przekraczać trzykrotności PKB per capita.

Aktualnie próg opłacalności wynosi 190 380 zł (3 x 63 460 zł).

Wskaźnik kosztów-efektów zdrowotnych nie szacuje i nie wyznacza wartości życia, pozwala jedynie ocenić i m. in. na tej podstawie dokonać wyboru terapii związanej z potencjalnie najlepszym wykorzystaniem aktualnie dostępnych zasobów.

Zgodnie z informacjami przekazanymi przez Ministerstwo Zdrowia, cena produktu leczniczego Petinimid, Ethosuximidum, syrop 50 mg/ml wynosi 78,32 PLN za 1 butelkę 250 ml, zaś produktu leczniczego Petnidan Saft, Ethosuximidum, syrop 50 mg/ml - 155,93 PLN za 1 butelkę 250 ml. (szacunkowa cena netto sprzedaży produktu do apteki, zawierająca marżę hurtową - dane nt. ceny produktu leczniczego z raportu z ZSMOPL, styczeń 2024 r.).

Zestawienie kosztów

W celach poglądowych zestawiono koszt terapii etosuksymidem w postaci syropu (sprowadzanego w ramach importu docelowego) i koszt terapii lewetyracetam w postaci roztworu doustnego finansowanego w ramach refundacji aptecznej we wskazaniu padaczka oporna na leczenie (produkt leczniczy Keppra). Zgodnie z szacunkami przeprowadzonymi przez Agencję koszt 1 DDD (ang. Daily Defined Dos) wynosi dla Petinimid 8,75 PLN, Petnidan Saft 16,90 PLN a dla Keppra 3,56 PLN.

Wskazanie czy zachodzą okoliczności, o których mowa w art. 13 ust. 3 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2023 r. poz. 826, z późn. zm.)

Jeżeli analiza kliniczna wnioskodawcy nie zawiera randomizowanych badań klinicznych dowodzących wyższości leku nad technologiami medycznymi dotychczas refundowanymi w danym wskazaniu, to urzędowa cena zbytu leku musi być skalkulowana w taki sposób, aby koszt stosowania leku wnioskowanego do objęcia refundacją nie był wyższy niż koszt technologii medycznej o najkorzystniejszym współczynniku uzyskiwanych efektów zdrowotnych do kosztów ich uzyskania.

Nie dotyczy.

Ocena wpływu na system ochrony zdrowia, w tym wpływu na budżet płatnika publicznego

Ocena wpływu na system ochrony zdrowia składa się z dwóch istotnych części.

Po pierwsze, w analizie wpływu na budżet płatnika, pozwala na oszacowanie potencjalnych wydatków związanych z finansowaniem nowej terapii ze środków publicznych.

Szacunki dotyczące wydatków związanych z nową terapią (scenariusz „jutro”) są porównywane z tym, ile aktualnie wydajemy na leczenie danego problemu zdrowotnego (scenariusz „dziś”). Na tej podstawie możliwa jest ocena, czy nowa terapia będzie wiązać się z koniecznością przeznaczenia wyższych środków na leczenie danego problemu zdrowotnego, czy też wiąże się z uzyskaniem oszczędności w budżecie płatnika.

Ocena wpływu na budżet pozwala na stwierdzenie czy płatnik posiada odpowiednie zasoby na finansowanie danej technologii.

Ocena wpływu na system ochrony zdrowia w drugiej części odpowiada na pytanie jak decyzja o finansowaniu nowej terapii może wpłynąć na organizację udzielania świadczeń (szczególnie w kontekście dostosowania do wymogów realizacji nowej terapii) oraz na dostępność innych świadczeń opieki zdrowotnej.

Przyjęte założenia do analizy:

- Dawkowanie: uśrednione wg danych MZ (wariant I, dla padaczki lekoopornej); podstawa ChPI (wariant II, dla obu analizowanych wskazań)
- Koszty interwencji: na podstawie informacji przekazanej w zleceniu;
- Populacja: na podstawie zlecenia 99 pacjentów z padaczką lekooporną (28 pacjentów Petimid; 71 pacjentów Petnidan Saft) i 1 pacjent zespół ciągłych wyładowań we śnie wolnofalowym (wniosek dotyczy Petinimid)

W przypadku wydania zgód na refundację produktu leczniczego Petnidan Saft oraz Petinimid w postaci syropu koszt ich stosowania dla populacji z padaczką lekooporną w zależności od wariantu wynosi ok. 217,6 tys. zł. w wariantcie I i ok. 419 tys. zł wariant II. Dla zespołu ciągłych wyładowań we śnie wolnofalowym koszty te wyniosą ok. 2,5 tys. zł dla produktu Petinimid albo 4,9 tys. zł. w przypadku Petnidan Saft.

Ograniczenia analizy

Głównym ograniczeniem analizy jest niepewność co do wielkości populacji docelowej, dawkowania oraz czasu trwania terapii.

Uwagi do proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka

Nie dotyczy.

Uwagi do zapisów programu lekowego

Nie dotyczy.

Omówienie rozwiązań proponowanych w analizie racjonalizacyjnej

Przedmiotem analizy racjonalizacyjnej jest identyfikacja mechanizmu, którego wprowadzenie spowoduje uwolnienie środków publicznych w wysokości odpowiadającej co najmniej wzrostowi kosztów wynikającemu z podjęcia pozytywnej decyzji o refundacji wnioskowanej technologii medycznej.

Analiza racjonalizacyjna jest przedkładana, jeżeli analiza wpływu na budżet podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych wykazuje wzrost kosztów refundacji.

Nie dotyczy.

Omówienie rekomendacji wydawanych w odniesieniu do ocenianej technologii

Rekomendacje kliniczne

Odnaleziono 5 dokumentów odnoszących się do postępowania we wnioskowanych wskazaniach: polskie PTN 2022, brytyjskie NICE 2022, szkockie SIGN 2021, francuskie PNDP 2021 oraz kanadyjskie Ontario 2023.

Etosuksymid jest zalecany w leczeniu napadów nieświadomości (w tym dziecięcej i młodzieńczej padaczki z napadami nieświadomości) (PTN 2022, NICE 2022, SIGN 2021, Ontario 2023) oraz w leczeniu zespołu ciągłych wyładowań we śnie wolnofalowym (Ontario 2023, PNDP 2021, PTN 2022 dla podtypu Zespół Landaua-Kleffnera).

Podstawa przygotowania rekomendacji

Rekomendacja została przygotowana na podstawie zlecenia Ministra Zdrowia z 4.03.2024 (znak pisma: PLD.45340.19.2024.2.KB), odnośnie przygotowania rekomendacji Prezesa w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego Petinimid, Ethosuximidum, syrop 50 mg/ml; Petnidan/Petnidan Saft, Ethosuximidum, syrop 50 mg/ml we wskazaniach: padaczka lekooporna (w tym padaczka z napadami nieświadomości), zespół ciągłych wyładowań we śnie wolnofalowym, na podstawie art. 39 ust. 3 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2023 r. poz. 826, z późn. zm.) po uzyskaniu Stanowiska Rady Przejrzystości nr 31/2024 z dnia 15 kwietnia 2024 roku w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację Petinimid, Petnidan Saft we wskazaniach: padaczka lekooporna (w tym padaczka z napadami nieświadomości), zespół ciągłych wyładowań we śnie wolnofalowym.

PREZES

Daniel Rutkowski

/dokument podpisany elektronicznie/

Piśmiennictwo

1. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 31/2024 z dnia 15 kwietnia 2024 roku w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację Petinimid, Petnidan Saft we wskazaniach: padaczka lekooporna (w tym padaczka z napadami nieświadomości), zespół ciągłych wyładowań we śnie wolnofalowym
2. Opracowanie na potrzeby oceny zasadności wydawania zgody na refundację nr: Nr: OT.4211.5.2024 (Aneks do opracowań nr: OT.4311.15.2017 i OT.4211.3.2021) „Petinimid (etosuksymid), syrop 50 mg/ml, Petnidan Saft (etosuksymid), syrop 50 mg/ml we wskazaniach: padaczka lekooporna (w tym padaczka z napadami nieświadomości), zespół ciągłych wyładowań we śnie wolnofalowym”; data ukończenia opracowania: 12.04.2024 r.