

**Stanowisko nr 10/3/2010 z dnia 1 lutego 2010r.
w sprawie finansowania modafinilu (Vigil®)
w leczeniu narkolepsji i hipersomnii idiopatycznej,
w ramach wykazu leków refundowanych**

Rekomendacja

Rada Konsultacyjna^a rekomenduje niefinansowanie ze środków publicznych modafinilu (Vigil®) w leczeniu narkolepsji i hipersomnii idiopatycznej, w ramach wykazu leków refundowanych.

Uzasadnienie rekomendacji

Nie przedstawiono nowych, istotnych danych dotyczących efektywności klinicznej ani bezpieczeństwa stosowania preparatu Vigil® oraz nie uzasadniono zadowalająco zmiany wnioskowanego sposobu finansowania, wobec czego Rada podtrzymuje swoje negatywne stanowisko dotyczące finansowania modafinilu ze środków publicznych.

Tryb przygotowania rekomendacji

Ocena omawianej technologii przeprowadzona została przez AOTM na zlecenie Ministra Zdrowia (MZ-PLE-460-8365-111/GB/09) z dnia 4 listopada 2009 r., na podstawie wniosku o wpisanie na wykazy leków refundowanych.

Problem zdrowotny

Narkolepsja polega na występowaniu w ciągu dnia ataków zasypiania lub dłuższej trwającej senności. Do zespołu objawów tej choroby zalicza się także katapleksję, czyli ataki utraty napięcia i siły mięśni występujące głównie w stanach zdenerwowania lub zmęczenia, halucynacje polegające na występowaniu realistycznych marzeń sennych oraz paraliż przysenny, czyli niemożność poruszania się i związany z tym lęk w czasie zasypiania lub budzenia się. Przyczyną narkolepsji może być brak lub obniżenie stężenia hipokretyny w podwzgórzu. Chorobowość w Europie ocenia się na około 50/100000, zaś liczbę chorych w Polsce na 8-20 tys., przy czym rozpoznanie potwierdzono u 150 osób. Nadmierna senność w czasie dnia może mieć podłoże idiopatyczne (bardzo rzadka) lub też może być wyrazem schorzeń przewlekłych (obturacyjny zespół bezdechu sennego, choroby neurologiczne i psychiatryczne), może być również spowodowana niedostatkami snu lub nieregularnym snem. Nadmierna senność dotyczy prawdopodobnie kilku procent populacji i stanowi poważny problem społeczny, przede wszystkim z powodu wypadków (około 20% wypadków komunikacyjnych) i urazów powodowanych zaburzeniami snu.^{1,2}

Obecna standardowa terapia

Leczenie narkolepsji oraz nadmiernej senności w ciągu dnia może przebiegać dwutorowo poprzez wydłużenie i poprawę snu nocnego lub postępowanie poprawiające fazę czuwania.

^a Rada Konsultacyjna działa na podstawie zarządzenia Ministra Zdrowia z dnia 30 czerwca 2006 r. w sprawie Agencji Oceny Technologii Medycznych z późniejszymi zmianami.

Podstawowym sposobem postępowania jest leczenie behawioralne polegające na zapewnieniu dostatecznie długiego snu w nocy oraz krótkich drzemek w ciągu dnia. Jest ono wystarczające u około 50 % chorych. W przypadku nadmiernej senności o możliwej do ustalenia przyczynie stosuje się leczenie przyczynowe. Leczenie farmakologiczne nadmiernej senności w Polsce opiera się obecnie na lekach stosowanych poza zarejestrowanymi wskazaniami. Stosuje się selegilinę, lek przeznaczony do leczenia chorych z parkinsonizmem, który ulega metabolizmowi do pochodnych podobnych do amfetaminy oraz metylfenidat zarejestrowany do leczenia ADHD.^{1,2}

Proponowana terapia

Modafinil jest centralnie działającym lekiem poprawiającym jakość i długość stanu czuwania, niepowodującym przy tym zmian nastroju. Dokładny mechanizm działania leku nie jest znany. Stosowany jest jako tabletki 100 mg w dawce dobowej 200-400 mg. Ma niski potencjał uzależniający. Jest zarejestrowany do stosowania w leczeniu nadmiernej senności w ciągu dnia związanej z narkolepsją, zespołem obturacyjnego bezdechu sennego oraz pracą zmianową.³

Skuteczność proponowanej terapii

Przedstawiona przez wnioskodawcę ocena efektywności klinicznej opiera się na analizie wpływu modafinilu na liczbę napadów snu i ciężkiej senności w ciągu dnia, czas trwania napadów snu, wyniki testu wielokrotnej latencji snu (MSLT) i testu utrzymania czuwania (MWT), subiektywną ocenę senności, zmniejszenie częstości napadów katapleksji, zdolność prowadzenia pojazdów (test SPCT). W porównaniu do placebo modafinil istotnie korzystniej wpływał na wszystkie wymienione punkty końcowe z wyjątkiem katapleksji. Szczególnie pozytywnie efektywność leku oceniali lekarze. Nie przeprowadzono badań porównujących modafinil z lekami stosowanymi obecnie w leczeniu nadmiernej senności w Polsce. W badaniu porównującym modafinil z hydroksymaślanem sodu (ten lek nie jest stosowany w Polsce) nie wykazano istotnej różnicy. Przedstawiono również wyniki badań nad jakością życia leczonych pacjentów, które wskazywały na istotną poprawę w komponencie psychicznej kwestionariusza SF-36.⁴

Bezpieczeństwo terapii

Działania niepożądane występujące istotnie częściej u osób przyjmujących modafinil (w porównaniu do placebo) to bóle głowy, nudności, suchość w ustach. FDA^b ostrzegała o możliwości wystąpienia ciężkich powikłań skórnych, które wystąpiły u kilku osób. Możliwe jest wystąpienie zaburzeń psychicznych i producent zaleca zachowanie ostrożności w stosowaniu leku u chorych z psychozami.⁴

Koszty terapii i wpływ na budżet płatnika

Wnioskodawca nie przedstawił analizy ekonomicznej. Dostarczona opisowa analiza zagadnienia opłacalności leków stosowanych w chorobach rzadkich, nie zawiera oceny efektywności kosztów.⁴

Podstawowa analiza wpływu na system opieki zdrowotnej uwzględnia umieszczenie produktu leczniczego Vigil® w wykazie leków refundowanych wydawanych po wniesieniu opłaty przez pacjenta do wysokości 30% kwoty limitu, podczas gdy wniosek dotyczy wykazu leków refundowanych wydawanych na podstawie wniesienia opłaty ryczałtowej.

Ponadto analiza obejmuje jedynie chorych z narkolepsją oraz hipersomnią idiopatyczną i nie uwzględnia pozostałych wskazań rejestracyjnych produktu leczniczego Vigil®.

Podstawowa analiza wpływu na system opieki zdrowotnej szacuje zwiększenie wydatków płatnika publicznego względem scenariusza istniejącego, w kolejnych trzech latach od momentu podjęcia pozytywnej decyzji o refundacji preparatu Vigil na ok. 1,2 mln. zł w pierwszym roku, ok. 1,9 w drugim i ok. 2,4 mln zł w trzecim roku refundacji.

W analizie wrażliwości, zakładającej umieszczenie preparatu Vigil® w wykazie leków refundowanych wydawanych za odpłatnością ryczałtową, szacunkowe inkrementalne wydatki płatnika publicznego

^b FDA – Food and Drug Administration – Amerykańska Agencja do spraw Żywności i Leków

wyniosą ok. 26,6 mln. zł w pierwszym roku, ok. 42,1 w drugim i ok. 53,1 mln zł w trzecim roku refundacji.

Biorąc pod uwagę powyższe argumenty, Rada Konsultacyjna nie uznała za zasadne rekomendowanie finansowania preparatu Vigil® ze środków publicznych, w ramach wykazu leków refundowanych.

Piśmiennictwo:

1. Opinia eksperta w dziedzinie psychiatrii dr Wojciecha Jernajczyka w sprawie zasadności finansowania preparatu Vigil ze środków publicznych z dnia 1 sierpnia 2008 roku, potwierdzona w dniu 21.12.2009 roku
2. Opinia prof. dr hab. Marka Jaremy, Krajowego Konsultanta w dziedzinie psychiatrii, w sprawie zasadności finansowania preparatu Vigil ze środków publicznych z dnia 13 stycznia 2010 roku.
3. Charakterystyka produktu leczniczego Vigil
4. Materiały dostarczone przez Wnioskodawcę