



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 200/2013 z dnia 23 września 2013
w sprawie oceny Exjade (deferazyroks) (EAN 5909990613045)
we wskazaniu leczenia doustnego nadmiaru żelaza w organizmie
u pacjentów dorosłych z przewlekłym obciążeniem żelazem
spowodowanym transfuzjami krwi

Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją leku Exjade (deferazyroks) w ramach programu lekowego, jako leku II rzutu we wskazaniu: leczenie doustne nadmiaru żelaza w organizmie u pacjentów dorosłych z przewlekłym obciążeniem żelazem spowodowanym transfuzjami krwi. Lek powinien być dostępny dla pacjentów bezpłatnie, w ramach już istniejącej grupy limitowej,

Uzasadnienie

Dowody naukowe średniej jakości pozwalają przypuszczać, że deferazyroks jest skuteczny w leczeniu przewlekłego obciążenia żelazem w wyniku transfuzji krwi u dorosłych, przy czym jej skuteczność nie jest większa niż skuteczność kliniczna deferoksaminy. Za dodatkową korzyść dla pacjentów, wynikającą ze stosowania deferazyroksu, można uznać obserwowany w próbach klinicznych wyższy komfort leczenia. Z drugiej strony wyniki randomizowanych badań klinicznych wskazują na częstsze występowanie niektórych działań niepożądanych u pacjentów stosujących deferazyroks, względem pacjentów stosujących deferoksaminy. Ze względu na wysoki koszt leczenia i najwyżej umiarkowane dodatkowe korzyści kliniczne, deferazyroks powinien być stosowany wyłącznie jako lek II rzutu u chorych, u których leczenie deferoksaminy jest nieskuteczne lub źle tolerowane. Objęcie refundacją preparatów deferazyroksu może nastąpić tylko w drodze już istniejącej grupy limitowej (1112.0, Deferazyroks).

Przedmiot wniosku

Przedmiotem wniosku jest objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu produktów leczniczych:

- Exjade (deferazyroks), tabletki do sporządzania zawiesiny doustnej, 250 mg, 28 tabl., EAN:5909990613021;
- Exjade (deferazyroks), tabletki do sporządzania zawiesiny doustnej, 500 mg, 28 tabl., EAN:5909990613045;



w ramach programu lekowego leczenie doustne stanów nadmiaru żelaza w organizmie u pacjentów dorosłych z przewlekłym obciążeniem żelazem spowodowanym transfuzjami krwi.

Lek ma być [REDAKTOWANE] w ramach programu lekowego oraz [REDAKTOWANE].

Wnioskowana technologia była już wcześniej przedmiotem oceny w Agencji we wskazaniu leczeniu doustne stanów nadmiaru żelaza w organizmie (ICD-10: E83.1) w populacji dzieci.

Niniejsze stanowisko dotyczy opakowania Exjade (deferazyroks), tabletki do sporządzania zawiesiny doustnej, 500 mg, 28 tabl., EAN:5909990613045.

Problem zdrowotny

Jak w stanowisku 199/2013.

Opis wnioskowanej technologii medycznej

Jak w stanowisku 199/2013.

Alternatywne technologie medyczne

Jak w stanowisku 199/2013.

Skuteczność kliniczna

Jak w stanowisku 199/2013.

Skuteczność praktyczna

Jak w stanowisku 199/2013.

Bezpieczeństwo stosowania

Jak w stanowisku 199/2013.

Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka

Jak w stanowisku 199/2013.

Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

Jak w stanowisku 199/2013.

Wpływ na budżet płatnika publicznego

Jak w stanowisku 199/2013.

Rozwiązania proponowane w analizie racjonalizacyjnej

Jak w stanowisku 199/2013.

Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej

Jak w stanowisku 199/2013.

Dodatkowe uwagi Rady

Jak w stanowisku 199/2013.

Biorąc pod uwagę powyższe argumenty, Rada Przejrzystości przyjęła stanowisko jak na wstępie.

.....
Przewodniczący Rady Przejrzystości
prof. Tomasz Pasiński

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny

Technologii Medycznych AOTM-DS-4351-5/2013, Wniosek o objęcie refundacją leku Exjade (deferazyroks) 250 mg, 28 tabl., EAN 5909990613021, 500 mg, 28 tabl., EAN 5909990613045 w ramach programu lekowego we wskazaniu: leczenie doustne nadmiaru żelaza w organizmie u pacjentów dorosłych z przewlekłym obciążeniem żelazem spowodowanym transfuzjami krwi, wrzesień 2013 r.

Inne wykorzystane źródła danych, oprócz wskazanych w ww. raporcie:

1. Stanowisko eksperckie przedstawione na posiedzeniu w dniu 23 września 2013r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Novartis Poland Sp.z o.o., ul. Marynarska 15, 02-674 Warszawa).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem (Novartis Poland Sp.z o.o., ul. Marynarska 15, 02-674 Warszawa) 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. Nr 112, poz. 1198 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

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: (Novartis Poland Sp.z o.o., ul. Marynarska 15, 02-674 Warszawa).