



Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 135/2014 z dnia 12 maja 2014 r.  
w sprawie oceny leku Jakavi (ruksolitynib)  
(kod EAN: 5909991000905) we wskazaniu: w ramach programu  
lekowego „Leczenie mielofibrozy pierwotnej oraz mielofibrozy  
wtórnej w przebiegu czerwienicy prawdziwej i nadpłytkowości  
samoistnej”

*Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Jakavi (ruksolitynib), tabl. 15 mg, 60 szt., kod EAN: 5909991000905 we wskazaniu: w ramach programu lekowego „Leczenie mielofibrozy pierwotnej oraz mielofibrozy wtórnej w przebiegu czerwienicy prawdziwej i nadpłytkowości samoistnej”, pod warunkiem takiego dostosowania kosztów leczenia aby osiągnąć próg efektywności kosztowej. Lek powinien być dostępny w ramach programu lekowego,*

#### **Uzasadnienie**

*Jakavi (ruksolitynib) jest lekiem należącym do grupy inhibitorów kinaz JAK1 i JAK2, które znajdują zastosowanie w leczeniu zespołów mieloproliferacyjnych, w przebiegu których dochodzi do zaburzeń transmisji sygnałów przez JAK1 i JAK2. Według dokumentacji rejestracyjnej, lek jest wskazany w leczeniu powiększenia śledziony, związanego z chorobą lub objawów występujących u dorosłych pacjentów z pierwotnym włóknieniem szpiku (znanym także jako przewlekłe idiopatyczne włóknienie szpiku), włóknieniem szpiku poprzedzonym nadkrwistością prawdziwą lub włóknieniem szpiku poprzedzonym nadpłytkowością samoistną.*

*Dowody kliniczne wysokiej i umiarkowanej jakości (badania COMFORT - 1 i COMFORT - 2) wskazują, że ruksolitynib jest lekiem o dużej skuteczności w leczeniu splenomegalii związanej z mielofibrozą, a także przyczynia się do zmniejszenia innych objawów towarzyszących mielofibrozie. W badaniach dokumentujących skuteczność kliniczną wykazano pozytywny wpływ na przeżycie całkowite, chociaż istnieją różnice między badaniami COMFORT – 1 i COMFORT – 2. Profil bezpieczeństwa leku należy uznać za akceptowalny. Wytyczne kliniczne także wskazują na ruksolitynib jako cenną opcję terapeutyczną we wnioskowanych wskazaniach.*



*Jednocześnie Rada zwraca uwagę, że leczenie przy pomocy ruksolitynibu wiąże się z wysokimi obciążeniami dla budżetu płatnika,*

*. W związku z tym faktem decyzja o finansowaniu ruksolitynibu we wnioskowanym wskazaniu powinna być uzależniona od dostosowania kosztów leczenia do progu efektywności kosztowej.*

.....  
Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości  
prof. Michał Myśliwiec

**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 (Dz. U. 2011 r., Nr 122, poz. 696 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych nr AOTM-RK-4351-2/2014, „Wniosek o objęcie refundacją leku Jakavi (ruksolitynib) we wskazaniu: leczenie mielofibrozy pierwotnej oraz mielofibrozy wtórnej w przebiegu czerwienicy prawdziwej i nadpłytkowości samoistnej”, kwiecień 2014 r.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy Novartis Polska Sp. z.o.o.

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy: Novartis Polska Sp. z.o.o.

**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 Polska Sp. z.o.o.