



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 78/2016 z dnia 1 sierpnia 2016 roku

w sprawie oceny leku Jakavi (ruksolitynib) kod EAN: 5909991053789, w ramach programu lekowego „Leczenie mielofibrozy pierwotnej oraz mielofibrozy wtórnej w przebiegu czerwienicy prawdziwej i nadpłytkowości samoistnej, ICD-10 D47.4”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Jakavi (ruksolitynib), tabl., 15 mg, 56 szt., kod EAN: 5909991053789, w ramach programu lekowego „Leczenie mielofibrozy pierwotnej oraz mielofibrozy wtórnej w przebiegu czerwienicy prawdziwej i nadpłytkowości samoistnej, ICD-10 D47.4”, w ramach odrębnej grupy limitowej, jako leku dostępnego bezpłatnie, pod warunkiem przyjęcia instrumentu podziału kosztów ryzyka, który zapewni osiągnięcie przyjętego progu efektywności kosztowej.

Uzasadnienie

Mielofibroza jest chorobą o bardzo złym rokowaniu, na którą nie ma obecnie znanego, skutecznego leczenia. Dowody kliniczne 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 niektórych objawów towarzyszących mielofibrozie. Lek jest rekomendowany przez ekspertów, jest refundowany w prawie wszystkich krajach europejskich. W badaniach dokumentujących skuteczność kliniczną nie wykazano wpływu pozytywnego na przeżycie całkowite, co może wynikać z oczekiwanego czasu przeżycia około 10 lat. Brak jest opublikowanych w formie pełnotekstowej danych dotyczących parametrów o kluczowym znaczeniu, takich jak wpływ na włóknienie szpiku oraz obraz krwi. Również wyniki dotyczące jakości życia są słabej jakości. Profil bezpieczeństwa leku należy uznać za akceptowalny. Zdaniem jednego z polskich ekspertów grupa chorych, którzy spełniają kryteria włączenia do programu, nie ma innych opcji leczniczych.

Wątpliwość budzi tytuł zaproponowanego programu lekowego „Leczenie mielofibrozy pierwotnej oraz mielofibrozy wtórnej w przebiegu czerwienicy prawdziwej i nadpłytkowości samoistnej, ICD-10 D47.4”, gdzie jednoznacznie wskazany został kod ICD-10, w ramach którego ma być rozliczane oceniane



świadczenie. Niemożliwe jest jednak zidentyfikowanie świadczeń aktualnie finansowanych w kodzie ICD-10 D47.4, ponieważ kod ten nie istnieje w klasyfikacji ICD-10 obowiązującej obecnie w Polsce. Wprowadzenie programu lekowego, który ma być rozliczany w ramach nieistniejącego w Polsce kodu ICD-10 D47.4, wiąże się z trudnościami dla NFZ, jednakże zarządzanie przedmiotową klasyfikacją pozostaje poza właściwością Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia i należy do Centrum Systemów Informacyjnych Ochrony Zdrowia.

Niezbyt mocne dowody naukowe dotyczące stopnia skuteczności ruksolitynib pozostają w rażącej dysproporcji z jego ceną. Problem nieakceptowalnego współczynnika kosztów-efektywności wymieniany jest przez autorów zagranicznych rekomendacji refundacyjnych. Według informacji przedstawionych przez wnioskodawcę produkt leczniczy Jakavi jest finansowany w 24 krajach UE i EFTA, w tym w 5 krajach o zbliżonym do Polski poziomie PKB per capita. W 9 krajach (Włochy, Słowacja, Słowenia, Rumunia, Litwa, Irlandia, Holandia, Francja i Bułgaria) stosowane są instrumenty podziału ryzyka. Instrumenty zaproponowane przez wnioskodawcę nie są wystarczające.

.....

Przewodniczący Rady Przejrzystości
prof. Tomasz Pasierski

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. z 2015 r., poz. 345 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr OT.4351.22.2016 „Wnioski o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu leków Jakavi (ruksolitynib) w ramach programu lekowego: „Leczenie mielofibrozy pierwotnej oraz mielofibrozy wtórnej w przebiegu czerwienicy prawdziwej i nadpłytkowości samoistnej, ICD-10 D47.4””. Data ukończenia: 22 lipca 2016 r.