



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 6/2017 z dnia 9 stycznia 2017 roku
w sprawie oceny leku Elocta (efmoroctocog alfa),
kod EAN: 5909991246464, we wskazaniu: w ramach programu
lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A
(ICD-10 D66) z zastosowaniem rekombinowanego ludzkiego czynnika
krzepnięcia VIII o przedłużonym działaniu (efmoroctocog alfa – Elocta
– rFVIII Fc)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Elocta (efmoroctocog alfa), 500 IU proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, kod EAN 5909991246464, w ramach programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A (ICD-10 D66) z zastosowaniem rekombinowanego ludzkiego czynnika krzepnięcia VIII o przedłużonym działaniu (efmoroctocog alfa – Elocta – rFVIII Fc)”.

Uzasadnienie

Hemofilia A jest wrodzoną skazą krwotoczną, spowodowaną zmniejszeniem aktywności czynnika krzepnięcia VIII (cz. VIII) w osoczu, w wyniku czego dochodzi do obfitych krwawień do stawów, mięśni lub narządów wewnętrznych, występujących samoistnie lub w skutek wypadkowych bądź chirurgicznych urazów. Postać ciężka choroby stanowi 53,7% spośród wszystkich przypadków hemofilii A.

Podstawą leczenia hemofilii jest uzupełnienie niedoborowego czynnika krzepnięcia w krwiobiegu w celu zahamowania aktywnego krwawienia lub jego prewencji. W profilaktyce i leczeniu krwawień w hemofilii A stosuje się: liofilizowane koncentraty cz. VIII wytwarzane z ludzkiego osocza (koncentraty osoczopochodne); liofilizowane koncentraty cz. VIII wytwarzane metodami inżynierii genetycznej (koncentraty rekombinowane).

Mimo że terapia ta jest bardzo kosztowna, państwo polskie zapewnia dostęp do cz. VIII wszystkim chorym na hemofilię. Z uwagi na krótki czas półtrwania cz. VIII, stosowany profilaktycznie wymaga on podawania co 2-3 dni.

Elocta jest przedstawicielem nowej generacji czynników krzepnięcia o przedłużonym czasie półtrwania, przez co mogą one być rzadziej stosowane, choć brak na to dobrych dowodów naukowych i porównania do dotychczas



stosowanych technologii. Przekładać się to może na rzadsze wkłucia dożylnie i zmniejsza konieczność stosowania wkłuć centralnych oraz na mniejszą ilość podawanych czynników krzepnięcia.

Analizę ekonomiczną w ocenianym wniosku przeprowadzono w formie analizy konsekwencji kosztów, a jej horyzont czasowy wynosił 12-miesięcy. Analiza ta opiera się na arbitralnie przyjętej wartości QALY za dzień, w którym wystąpiło krwawienie wynoszącej 0,20. Wartość ta może być równie dobrze mniejsza, co większa. Równie niewiarygodną składową tej analizy jest zużycie czynników krzepnięcia. Cena produktu Elocta jest wysoka i koszt QALY pięciokrotnie przekracza próg określony w ustawie.

W opinii wielu agencji HTA (Francja, Szwecja, Niemcy) wartość dodana tej technologii jest mała.

Można się spodziewać wprowadzenia do terapii innych form cz. VIII o znacząco dłuższym okresie półtrwania, a do tego czasu leczyć chorych na hemofilię w dotychczas przyjęty sposób, modyfikując odstępy między podaniem cz.VIII.

.....
Przewodniczący Rady Przejrzystości
prof. Tomasz Pasierski

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2016 r., poz. 1536 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr OT.4351.39.2016 „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu leku Elocta (efmorococog alfa) w ramach programu lekowego: „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A (ICD-10 D66) z zastosowaniem rekombinowanego ludzkiego czynnika krzepnięcia VIII o przedłużonym działaniu (efmorococog alfa – Elocta – rFVIII Fc)”, data ukończenia: 29 grudnia 2016 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia eksperta przedstawiona w trakcie posiedzenia.