



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 8/2017 z dnia 9 stycznia 2017 roku  
w sprawie oceny leku Elocta (efmoroctocog alfa),  
kod EAN: 5909991246495, 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), 1500 IU proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, kod EAN 5909991246495, 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 dożyłne i zmniejsza konieczność stosowania wkłuc 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.