



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

**Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 37/2017 z dnia 24 kwietnia 2017 roku
w sprawie oceny leku Rixubis (nonacog gamma) kod EAN:
5909991210090, we wskazaniu: zapobieganie krwawieniom u dzieci
z hemofilią A i B (ICD-10 D 66, D 67)**

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Rixubis (nonacog gamma), rekombinowany ludzki czynnik krzepnięcia IX (rDNA), 250 j.m., kod EAN: 5909991210090, w ramach programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B (ICD-10 D 66, D 67)”, w ramach grupy limitowej 1091.1, jako leku dostępnego w ramach programu lekowego i wydawanie go bezpłatnie.

Wnioskodawca nie zaproponował instrumentu dzielenia ryzyka.

Uzasadnienie

Wniosek dotyczy stosowania wnioskowanej technologii w ramach istniejącego programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B (ICD-10 D66, D 67)” (B.15), realizowanego na podstawie kolejnych Obwieszczeń Ministra Zdrowia, dotyczących leków refundowanych.

Problem zdrowotny jest znany i dobrze zdefiniowany. Populacja chorych oraz liczba wykonywanych u nich świadczeń w ramach wspomnianego programu lekowego jest dokładnie określona na podstawie danych sprawozdawczych posiadanych przez płatnika publicznego oraz dzięki rejestracji Instytutu Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie. Program lekowy wpisuje się w założenia „Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne” w Polsce. W dostępnych doniesieniach naukowych oraz w opiniach ekspertów dominuje pogląd o koniecznym zindywidualizowaniu dawkowania czynników krzepnięcia zależnie od wieku, masy ciała, indywidualnej farmakokinetyki działania podanych czynników, cech charakterologicznych dziecka i związanego z tym trybem życia. Pacjenci wymagają stałej obserwacji i indywidualnego dostosowywania dawek zależnie od potrzeb.

Rixubis (nonacog gamma) jest rekombinowanym ludzkim czynnikiem krzepnięcia IX (rDNA) stosowanym celem leczenia oraz zapobiegania



krwawieniom u dzieci i dorosłych z hemofilią typu B we wszystkich przedziałach wiekowych. Populacja wnioskowana do objęcia refundacją jest węższa od wskazania rejestracyjnego leku w związku z kryteriami kwalifikacji do programu lekowego w ramach którego lek ma być stosowany. Preparaty rekombinowane są zalecane w leczeniu hemofilii, ze względu na mniejsze ryzyko przeniesienia przez nie czynników zakaźnych (także dotąd nie opisanych), w porównaniu z koncentratami osoczopochodnymi. Dotyczy to wszystkich pacjentów niezależnie od wieku, a zwłaszcza tych, którzy nie są zakażeni wirusami HCV, HBV i HIV.

Nie odnaleziono wyników badań naukowych będących rezultatem bezpośredniego porównania działania koncentratów Rixubis z rekombinowanym komparatorem, refundowanym i udostępnianym obecnie w ramach programu lekowego B.15. Na podstawie porównań pośrednich można wnioskować, że efekt terapeutyczny obu technologii jest zbliżony, podobnie jak profil bezpieczeństwa ich stosowania. W badaniach dotyczących Rixubisu nie stwierdzano również ciężkich reakcji alergicznych, zdarzeń zakrzepowo-zatorowych, wystąpienia inhibitora przeciw FIX, przeciwciał dla białka CHO lub rFuryny. W obu przypadkach – Rixubisu i komparatora, nie raportowano zgonu któregokolwiek z pacjentów. Należy zaznaczyć, że dla obu technologii brak jest badań dotyczących przeżycia całkowitego, a jakość życia była analizowana jako drugorzędowy punkt końcowy. Podkreślenia wymaga również fakt, że przegląd systematyczny badań pierwotnych nie spełnia kryterium zgodności kryterium selekcji dla populacji z populacją docelową wskazaną we wniosku. Populacja wskazana w opisie programu lekowego obejmuje nowozdiagnozowanych, nieleczonych wcześniej czynnikami osoczopochodnymi pacjentów, podczas gdy do analizy klinicznej włączono badania obejmujące pacjentów leczonych wcześniej czynnikami osoczopochodnymi, a ponadto w części badań uwzględniono pacjentów dorosłych. Przegląd systematyczny badań pierwotnych nie spełnia także kryterium zgodności kryterium selekcji dla interwencji ocenianej z technologią wnioskowaną. Dawkowanie rekombinowanego czynnika IX zgodnie z zapisami programu lekowego wynosi 30-60 j.m./kg m.c., 1-2 razy w tygodniu, z zastrzeżeniem, że podawanie raz w tygodniu dotyczy dzieci dotychczas leczonych z dobrym efektem, podczas gdy w badaniach włączonych do analizy klinicznej dawkowanie wynosiło 40-80 j.m./kg m.c., 2 razy w tygodniu.

Z punktu widzenia analizy kosztów stosowanie interwencji wnioskowanej w miejsce komparatora jest tańsze w rocznym horyzoncie czasowym, a objęcie refundacją preparatu Rixubis (nonacog gamma) z perspektywy płatnika publicznego spowoduje wygenerowanie nieznaczących oszczędności

w pierwszym i kolejnych latach od ewentualnego podjęcia decyzji refundacyjnej.

Rada zwraca uwagę na wciąż bardzo wysokie koszty obu porównywanych technologii.

.....
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 OT.4351.5.2017, „Wnioski o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu produktów leczniczych Rixubis (nonacog gamma) w ramach programu lekowego: „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B (ICD-10 D66, D 67)”. Data ukończenia: 14 kwietnia 2017 r.