



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

**Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 38/2017 z dnia 24 kwietnia 2017 roku  
w sprawie oceny leku Rixubis (nonacog gamma) kod EAN:  
5909991210106, 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), 500 j.m., kod EAN: 5909991210106, 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 rejestrowi 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 nieznacznych 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.