



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 126/2017 z dnia 6 listopada 2017 roku  
w sprawie oceny leku Alprolix (eftrenonakog alfa)  
kod EAN: 5909991273910, w ramach programu lekowego  
„Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B  
(ICD-10 D66, D67)”

*Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Alprolix (eftrenonakog alfa), proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 1 000 IU, 1 zestaw, kod EAN: 5909991273910, w ramach programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B (ICD-10 D66, D67)”.*

### Uzasadnienie

*Problem zdrowotny jest znany i dobrze zdefiniowany. Populacja chorych oraz liczba wykonywanych u nich świadczeń jest dokładnie określona na podstawie danych sprawozdawczych posiadanych przez płatnika publicznego oraz dzięki rejestrowi Instytutu Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie. Świadczenia realizowane są w ramach programu lekowego B.15 „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B (ICD-10 D66, D67)”. Program ten 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. W dostępnych rekomendacjach od szeregu lat zwraca się również uwagę na konieczność zastępowania czynników krzepnięcia pochodzenia osocznego czynnikami rekombinowanymi, ze względu na większe bezpieczeństwo ich stosowania, choć wciąż wysokie ceny zbytu. Czynniki rekombinowane o przedłużonym okresie biologicznego półtrwania, a tym samym przedłużonym działaniu, są pewnego rodzaju nowością. Lek opiniowany przez Radę jest obecnie refundowany jedynie w 3 państwach europejskich. Dla części chorych stanowi o szansie mniejszej liczby iniekcji dożylnych w długoterminowej profilaktyce krwawień. Wydaje się jednak, że odstęp*



*czasowy między kolejnymi iniekcjami podany w projekcie programu lekowego może być określony zbyt optymistycznie w indywidualnych przypadkach i nie znajduje potwierdzenia w praktyce klinicznej. Zwraca również uwagę fakt, że wśród wyników badań naukowych brak jest dotychczas doniesień dotyczących populacji odpowiadającej strukturą wiekową populacji określonej w programie lekowym, w ramach którego miałyby zastosowanie wnioskowana technologia. Istniejące dowody naukowe dotyczą, w poszczególnych doniesieniach, grup pacjentów bardzo zróżnicowanych wiekowo. Nie zawsze w sposób jednoznaczny podawane są informacje, czy badania dotyczyły chorych nowodiagnostowanych i nie poddawanych dotychczas terapii innymi preparatami zawierającymi czynniki krzepnięcia. Brak jest bezpośrednich badań porównawczych z komparatorami aktualnie stosowanymi w ramach programu lekowego B.15. Dostępne wyniki badań dotyczą niejednokrotnie różnych punktów końcowych, choć wydaje się, że u części chorych stosowanie wnioskowanej technologii może wpłynąć na mniejszą liczbę krwawień w skali roku. Nie ma też podstaw aby sądzić, że profil bezpieczeństwa opiniowanego leku odbiegał w istotny sposób od profilu działań niepożądanych obecnie wykorzystywanych komparatorów.*

Przewodniczący Rady Przejrzystości

**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.4351.26.2017 „Wniosek o objęcie refundacją leku Alprolix (eftrenonakog alfa) w ramach programu lekowego: »Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B (ICD-10 D66, D67)«”. Data ukończenia: 27 października 2017 r.