



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 113/2019 z dnia 16 grudnia 2019 roku
w sprawie oceny leku Afstyla (lonococog alfa) w ramach programu
lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B (ICD-
10 D 66, D 67)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktów leczniczych:

- *Afstyla (lonococog alfa), proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 250 j.m., 1, fiol. proszku + 1 fiol. rozp. + zestaw do podawania, EAN: 5909991326098,*
- *Afstyla (lonococog alfa), proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 500 j.m., 1, fiol. proszku + 1 fiol. rozp. + zestaw do podawania, EAN: 5909991326104,*
- *Afstyla (lonococog alfa), proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 1000 j.m., 1, fiol. proszku + 1 fiol. rozp. + zestaw do podawania, EAN: 5909991326111,*
- *Afstyla (lonococog alfa), proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 1500 j.m., 1, fiol. proszku + 1 fiol. rozp. + zestaw do podawania, EAN: 5909991326128,*
- *Afstyla (lonococog alfa), proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 2000 j.m., 1, fiol. proszku + 1 fiol. rozp. + zestaw do podawania, EAN: 5909991326135,*
- *Afstyla (lonococog alfa), proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 2500 j.m., 1, fiol. proszku + 1 fiol. rozp. + zestaw do podawania, EAN: 5909991326142,*
- *Afstyla (lonococog alfa), proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 3000 j.m., 1, fiol. proszku + 1 fiol. rozp. + zestaw do podawania, EAN: 5909991326159,*

w ramach programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B (ICD-10 D 66, D 67)”, w ramach istniejącej grupy limitowej 1090.1 i wydawanie ich bezpłatnie.



Rada akceptuje propozycję włączenia leku Afstyla do [REDACTED]

Rada nie akceptuje zaproponowanego instrumentu dzielenia ryzyka.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Hemofilia A jest ciężką uwarunkowaną genetycznie chorobą układu krzepnięcia. Chorzy z hemofilią otrzymują w prewencji pierwotnej krwiopochodny lub rekombinowany VIII czynnik krzepnięcia. Jego krótki okres półtrwania wymaga częstych iniekcji dla zachowania stężenia terapeutycznego. Lonoctog stanowi zmodyfikowany rekombinowany czynnik VIII o wydłużonym okresie półtrwania. Aktualny program lekowy nie preferuje żadnej formy, krwiopochodnej ani lub rekombinowanej VIII czynnika krzepnięcia. Decyzja o ich wyborze zapada w wyniku przetargu. W wypadku pozytywnej decyzji refundacyjnej Lonoctog będzie mógł być rozpatrywany w procedurze przetargowej.

Dowody naukowe

Stosunkowo niskiej jakości dowody naukowe obejmujące badania jednoramienne, potwierdzają porównywalną skuteczność leku w zestawieniu z komparatorami.

Problem ekonomiczny

Z uwagi na brak przewagi w efektach klinicznych Lonoctogu nad komparatorami przeprowadzono analizę minimalizacji kosztów. Populację docelową, wskazaną w analizie wnioskodawcy zdefiniowano, jako pacjentów z ciężką hemofilią A niepowikłaną inhibitorem w wieku od 0 do 18 roku życia, którzy nie byli wcześniej leczeni czynnikami osoczo pochodnymi, a u których nie stwierdzono obecności inhibitora. W przypadku podjęcia decyzji o objęciu refundacją produktów Afstyla w ramach wnioskowanego programu lekowego, wydatki płatnika publicznego zwiększą się istotnie, pomimo zastosowania RSS w stosunku do scenariusza istniejącego.

Główne argumenty decyzji

Propozycja

[REDACTED] dla płatnika publicznego wskazują na konieczność poprawy instrumentu dzielenia ryzyka.

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 2019 r., poz. 784 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

nr: OT.4331.51.2019 „Wniosek o objęcie refundacją leku Afstyla (lonococog alfa) w ramach programu lekowego: «Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B (ICD-10 D 66, D 67)». Data ukończenia: 05.12.2019 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy CSL Behring GmbH.

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem CSL Behring GmbH o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

Podstawa prawna wyłączenia jawności: art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2016 r., poz. 1764 z późn. zm.) w zw. z art. 11 ust. 4 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2018 r., poz. 419).

Organ dokonujący wyłączenia jawności: Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji.

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: CSL Behring GmbH.