



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezisie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 86/2020 z dnia 20 kwietnia 2020 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych,
w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych,
leku Repatha (ewolokumab) we wskazaniu: hipercholesterolemia
rodzinna (ICD-10 E78.01)

Rada Przejrzystości uważa za niezasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Repatha (ewolokumab), roztwór do wstrzykiwań we wstrzykiwaczu półautomatycznym, 140mg, we wskazaniu: hipercholesterolemia rodzinna (ICD-10 E78.01).

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Hipercholesterolemia rodzinna jest chorobą dziedziczną autosomalnie dominującą, spowodowaną mutacjami genu kodującego receptor dla LDL. Przebieg homozygotycznej postaci choroby jest ciężki, z rozwojem miażdżycy już w wieku dziecięcym. Objawy postaci heterozygotycznej pojawiają się później, niemniej stanowi ona bardzo silny czynnik ryzyka przedwczesnej choroby niedokrwiennej serca, zawału serca i udaru mózgu. Groźne incydenty sercowo-naczyniowe są często pierwszą manifestacją tej choroby.

Wniosek dotyczy pacjenta z hipercholesterolemią rodzinną, z nasiloną miażdżycą w tętnicach wieńcowych oraz przebyłym zawałem mięśnia serca w wieku 28 lat. Pacjent był dotychczas leczony operacyjnie (zabiegi na naczyniach wieńcowych) oraz przyjmował statynę i ezetymib w maksymalnych tolerowanych dawkach.

Skuteczność kliniczna i praktyczna

U pacjentów z wysokim ryzykiem sercowo-naczyniowym stosowanie inhibitorów PCSK9, zarówno ewolokumabu jak i alirokumabu wiązało się z istotnym zmniejszeniem ryzyka poważnych niepożądanych zdarzeń sercowo-naczyniowych, w tym między innymi, zawału mięśnia sercowego oraz udaru mózgu. Jednocześnie nie wykazano zmniejszenia ryzyka zgonu ogółem jak i zgonu z przyczyn sercowo-naczyniowych wśród pacjentów leczonych inhibitorami PCSK9, w porównaniu do grupy kontrolnej. Należy podkreślić, że leczenie



zaburzeń lipidowych jest długotrwałe i wykracza poza horyzont czasowy przewidziany w trybie RDTL. Wskaźnik liczby chorych, których trzeba leczyć (NNT) dla uzyskania pozytywnego efektu podawany jest w przypadku inhibitorów PCSK9 w co najmniej rocznym horyzoncie czasowym.

Bezpieczeństwo stosowania

Najczęściej zgłaszanymi działaniami niepożądanymi zgłaszanymi przez pacjentów z pierwotną hipercholesterolemią i mieszaną dyslipidemią podczas stosowania ewolokumabu: zapalenie błony śluzowej nosa i gardła, infekcje górnych dróg oddechowych, ból pleców, bóle stawów, grypa i nudności.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania jest pozytywna co zostało potwierdzone na etapie rejestracji leku na terenie EU. Dostępne dane uzyskane od chwili rejestracji leku nie zmieniają tej oceny.

Konkurencyjność cenowa

Według wniosku załączonego do zlecenia MZ koszt 3-miesięcznej terapii wynosi: [REDAKTOWANO] (brutto). Dostępnym na rynku inhibitorami PCSK9 mogące stanowić komparator dla wnioskowanej technologii – alirokumab, [REDAKTOWANO]

Wpływ na wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorców

Według wniosku załączonego do zlecenia MZ koszt 3-miesięcznej terapii wynosi: [REDAKTOWANO] (brutto). Populacja docelowa dla wnioskowanego wskazania jest liczna - przy uwzględnieniu przypadków homo- i heterozygotycznych można ją szacować na kilkadziesiąt tysięcy osób.

Alternatywna technologia medyczna, w rozumieniu ustawy o świadczeniach, oraz jej efektywność kliniczna i bezpieczeństwo stosowania

W chwili obecnej zarejestrowanymi inhibitorami PCSK9 są alirokumab i ewolokumab. W przeglądzie systematycznym Mu 2020 wykazano, że ewolokumabu wykazuje przewagę nad alirokumabem w szczególności pod względem wpływu na poziom LDL. Nie zanotowano wyraźnych różnic pod względem wpływu na poważne zdarzenia sercowo-naczyniowe.

Główne argumenty decyzji

Wniosek dotyczy przewlekłego stosowania leku w horyzoncie czasowym przekraczającym trzy miesiące, co poddaje pod wątpliwość refundowania w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych. Obciążenie budżetu płatnika publicznego w przypadku podawania leku chorym

z hipercholesterolemią rodzinną, bez wskazania szczegółowych kryteriów kwalifikacji do leczenia, może być bardzo wysokie.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt 4 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 1373 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania nr: OT.422.24.2020 „Repatha (ewolokumab) we wskazaniu: hipercholesterolemia rodzinna (ICD-10 E78.01)”, data ukończenia: 15.04.2020 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców Amgen Sp. z o.o.

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Amgen Sp. z o.o. 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: Amgen Sp. z o.o.