



Opinia nr 75/2020

z dnia 1 lipca 2020 r.

Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych leku Takhzyro (lanadelumab), we wskazaniu: wrodzony obrzęk naczynioruchowy z niedoboru C1-inhibitora (ICD-10 D84.1), w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowej

Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, biorąc pod uwagę kryteria, o których mowa w art. 12 pkt 3-6 oraz pkt 8-10 ustawy z dnia 12 maja 2011 roku o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2019 poz. 784, z późn. zm) **opiniuje negatywnie** zasadność finansowania ze środków publicznych leku Takhzyro (lanadelumab), we wskazaniu: wrodzony obrzęk naczynioruchowy z niedoboru C1-inhibitora (ICD-10 D84.1), w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowej.

Uzasadnienie opinii

Prezes Agencji, biorąc pod uwagę stanowisko Rady Przejrzystości, uważa za niezasadne finansowanie ze środków publicznych leku Takhzyro (lanadelumab), we wskazaniu: wrodzony obrzęk naczynioruchowy z niedoboru C1-inhibitora (ICD-10 D84.1), w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowej.

W ramach analizy skuteczności klinicznej lanadelumabu przedstawiono wyniki porównania bezpośredniego względem placebo oparte o randomizowane badanie HELP. Wyniki badania wskazują na skuteczność lanadelumabu w zakresie zmniejszenia średniej liczby ataków dziedzicznego obrzęku naczynioruchowego (ang. hereditary angioedema, HAE). Również w zakresie większości drugorzędowych punktów końcowych odnotowano różnice wskazujące na skuteczność ocenianej technologii medycznej. Niemniej jednak należy mieć na uwadze, że badanie HELP, charakteryzuje się ograniczeniami w zakresie włączonej populacji docelowej oraz okresu obserwacji, które nie pozwalają na jednoznaczne przełożenie wyników na rzeczywistą sytuację kliniczną.

W dniu 15 czerwca Prezes Agencji wydał negatywną rekomendację dot. objęcia refundacją produktu leczniczego Takhzyro (lanadelumab) w ramach programu lekowego we wskazaniu analogicznym do wnioskowanego. Głównym argumentem przemawiającym za niezasadnością objęcia refundacją produktu Takhzyro obok wątpliwości dotyczących efektów klinicznych była wartość inkrementalnego współczynnika kosztów-użyteczności oraz prognozowane obciążenie budżetu płatnika publicznego.



Dodatkowo należy zaznaczyć, że finansowanie produktu w ramach RDTL zakłada podawanie go przez 3 miesiące, natomiast lanadelumab jest produktem leczniczym podawanym w horyzoncie dożywnym.

Mając na uwadze powyższe zastrzeżenia wynikające z procesu oceny przedmiotowej technologii medycznej oraz kwestie formalne, nie jest zasadne pozytywne zaopiniowanie przedmiotowego wniosku.

Przedmiot zlecenia

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy sporządzenia przez Agencję opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych leku Takhyzo (lanadelumab) roztwór do wstrzykiwań, fiolka à 300 mg, we wskazaniu: wrodzony obrzęk naczynioruchowy z niedoboru C1-inhibitora (ICD-10 D84.1), w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowej, na podstawie art. 47f ust. 1 lub 2 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz.U. z 2019 r., poz. 1373, z późn. zm.).

Zgodnie z dodatkowymi uwagami dot. zlecenia, w ramach wcześniejszego leczenia zastosowano Berinert, Danazol, Exacyl, Ruconest, Firazyf (bez efektu). Wskazanie obejmuje także aktywność inhibitora C1 – 21%.

Problem zdrowotny i istotność stanu klinicznego

Obrzęk naczynioruchowy (ang. angioedema, angioneurotic edema, AE) to obrzęk tkanki podskórnej lub podśluzówkowej powstający w wyniku rozszerzenia i zwiększenia przepuszczalności naczyń krwionośnych, najczęściej dobrze odgraniczony, niesymetryczny, typowo zlokalizowany w obrębie powiek, czerwieni wargowej, okolic narządów płciowych i dystalnych części kończyn, a także błony śluzowej górnych dróg oddechowych i przewodu pokarmowego.

Wrodzony AE związany z niedoborem C1-inhibitora stanowi ~2% wszystkich przypadków AE i występuje z częstością 1/50 000-150 000. Rejestr europejski obejmuje obecnie ~2 000 przypadków. W Polsce zarejestrowano >240 przypadków, ale uważa się, że choroba występuje w populacji przekraczającej tę wartość. Ta postać AE jest dziedziczna jako cecha autosomalna dominująca. Typ I stanowi 80-85% przypadków, a typ II ~15%. Wrodzony obrzęk naczynioruchowy z towarzyszącą mutacją czynnika XII (FXII-HAE) występuje bardzo rzadko.

Rokowanie w ostrym obrzęku naczynioruchowym zależy od zajęcia dróg oddechowych. Śmiertelność wynikająca z nieleczzonego ataku HAE obejmującego krtani wynosi około 30 – 40%, a ryzyko zgonu jest 3-krotnie wyższe wśród osób niezdiagnozowanych w porównaniu do zdiagnozowanych.

Alternatywne technologie medyczne

W odnalezionych wytycznych dotyczących rutynowego leczenia zapobiegawczego w zależności od źródła zaleca się stosowanie C1-INH, androgenów lub leków antyfibrynolitycznych

Mając na uwadze informacje dot. wcześniejszego leczenia u rozpatrywanego pacjenta oraz zapisy wytycznych klinicznych uznano, że w ocenianym wskazaniu alternatywną technologię lekową stanowić może produkt Cinryze, zawierający ludzki inhibitor C1-esterazy. Cinryze zarejestrowany przez EMA jest w następujących wskazaniach:

- Leczenie i zapobieganie przed zabięciem napadom obrzęku naczynioruchowego u dorosłych, młodzieży i dzieci (w wieku 2 lat i powyżej) z dziedzicznym obrzękiem naczynioruchowym (HAE, ang. hereditary angioedema).
- Rutynowe zapobieganie napadom obrzęku naczynioruchowego u dorosłych, młodzieży i dzieci (w wieku 6 lat i powyżej) z ciężkimi i nawracającymi napadami dziedzicznego obrzęku

naczynioruchowego (HAE), którzy nie tolerują lub są niewystarczająco chronieni zapobiegawczym leczeniem doustnym, lub u pacjentów z nieodpowiednio prowadzonym leczeniem doraźnym napadów obrzęku naczynioruchowego.

Opis wnioskowanej technologii medycznej

Lanadelumab (LANA) to całkowicie ludzkie przeciwciało monoklonalne (IgG1/łańcuch lekki κ). Lanadelumab hamuje czynną aktywność proteolityczną kalikreiny osoczowej. Zwiększona aktywność kalikreiny osoczowej prowadzi do napadów obrzęku naczynioruchowego u pacjentów z HAE poprzez proteolizę kininogenu o dużej masie cząsteczkowej (ang. high-molecular-weight-kininogen, HMWK), wskutek czego powstaje rozszczepiony HMWK (ang. cleaved HMWK, cHMWK) i bradykinina.

Zgodnie z Charakterystyką Produktu Leczniczego (ChPL) Takhzyro jest wskazany do stosowania w ramach rutynowej profilaktyki nawracających napadów dziedzicznego obrzęku naczynioruchowego (ang. hereditary angioedema, HAE) u pacjentów w wieku 12 lat i starszych.

Wnioskowane wskazanie jest zgodne z rejestracyjnym.

Należy także zaznaczyć, że dnia 8 czerwca 2020 r. roku wydano negatywne Stanowisko Rady Przejrzystości 34/2020 a dnia 15 czerwca 2020 r. negatywną rekomendację Prezesa AOTMiT 34/2020 dot. objęcia refundacją produktu leczniczego Takhzyro (lanadelumab) w ramach programu lekowego „Rutynowe leczenie zapobiegawcze nawracających napadów dziedzicznego obrzęku naczynioruchowego (ICD-10 D84.1)”.

Ocena skuteczności (klinicznej i praktycznej) oraz bezpieczeństwa stosowania, w tym ocena relacji korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Analizę kliniczną oparto o 1 pierwotne badanie z randomizacją (HELP), porównujące skuteczność i bezpieczeństwo LANA z placebo (PLC). Liczba pacjentów: 97. Okres obserwacji: 26 tyg.

Ryzyko błędu systematycznego w badaniu oceniono na niskie we wszystkich domenach.

W celu oceny skuteczności posłużono się następującymi parametrami:

- RR (ang. relative risk, risk ratio) - ryzyko względne,
- RB (ang. relative benefit) - korzyść względna,
- MD (ang. mean difference) – różnica średnich,
- NNT (ang. number needed to treat) - liczba pacjentów, u których zastosowane leczenie prowadzi do wystąpienia jednego korzystnego punktu końcowego,
- NNH (ang. number needed to harm) - liczba pacjentów, u których zastosowane leczenie prowadzi do wystąpienia jednego niekorzystnego punktu końcowego.

Jakość życia mierzono za pomocą kwestionariusza Angioedema Quality of Life (AE-QoL), który składa się z 17 elementów, z których każdy był oceniany w skali od 0 (najlepszy wynik) do 100 (najgorszy wynik).

Skuteczność

Różnice istotne statystycznie na korzyść wnioskowanej technologii odnotowano w zakresie następujących parametrów (wyniki podano dla okresu obserwacji 0-182 dni):

- zmniejszenie średniej liczby ataków HAE w okresie leczenia:
 - w grupie stosującej LANA raz na 2 tyg. : MD=-1,71 (95% CI: -2,09; -1,33), RR=0,13 (95% CI: 0,07; 0,24),

- w grupie stosującej LANA raz na 4 tyg.: -1,44 (95% CI: -1,84; -1,04), RR=0,27 (95% CI: 0,18; 0,41);
- zmniejszenie średniej liczby ataków HAE, wymagających leczenia ratunkowego:
 - w grupie stosującej LANA raz na 2 tyg. : MD=-1,43 (95% CI -1,78; -1,07), RR=0,13 (95% CI 0,07; 0,25),
 - w grupie stosującej LANA raz na 4 tyg.:MD= -1,21 (95% CI -1,58; -0,85), RR=0,26 (95% CI 0,16; 0,41);
- zmniejszenie średniej liczby ataków HAE o nasileniu umiarkowanym do ciężkiego:
 - w grupie stosującej LANA raz na 2 tyg. : MD=-1,01(95% CI -1,32; -0,71), RR=0,17 (95% CI 0,08; 0,33),
 - W grupie stosującej LANA raz na 4 tyg.MD= --0,89 (95% CI -1,20; -0,58), RR=0,27 (95% CI 0,16; 0,46);
- prawdopodobieństwo uzyskania odpowiedzi na leczenie (zmniejszenie częstości ataków HAE w stosunku do wartości obserwowanej w trakcie okresu wprowadzającego (run-in), odpowiednio o $\geq 50\%$, $\geq 70\%$ i $\geq 90\%$):
 - w grupie stosującej LANA raz na 2 tyg.: 3, 9 i 13 krotnie wyższe prawdopodobieństwo zmniejszenia częstości ataków odpowiednio o 50%, 70% i 90% , RB=3,06 (95% CI: 1,96; 4,76), NNT=2 (95% CI: 2;2), RB=9,11 (95 % CI: 3,56; 23,33), NNT=2 (95% CI: 2;2), RB=13,67 (95% CI: 3,45; 54,20), NNT=2 (95% CI: 2;3),
 - w grupie stosującej LANA raz na 4 tyg.: 3, 8 i 11 krotnie wyższe prawdopodobieństwo zmniejszenia częstości ataków odpowiednio o 50%, 70% i 90% , RB= 3,06 (95% CI: 1,97; 4,76), NNT=2 (95 % CI: 2;20, RB = 7,78 (95% CI: 3,00; 20,17), NNT=2 (95% CI: 2;3), RB = 11,31 (95% CI: 2,81; 45,45), NNT = 2 (95% CI: 2;4);
- zwiększenie liczby pacjentów bez ataków HAE:
 - w grupie stosującej LANA raz na 2 tyg. prawdopodobieństwo uzyskania pkt końcowego było 3 krotnie wyższe: RB=3,06 (95% CI: 1,96; 4,76), NNT=2 (95% CI: 2;2),
 - w grupie stosującej LANA raz na 4 tyg. prawdopodobieństwo uzyskania pkt końcowego było 18 krotnie wyższe: RB=18,22 (95% CI: 2,51; 132,15), NNT=3 (95% CI: 2;5);
- zwiększenie średniej liczby dni bez ataków HAE:
 - w grupie stosującej LANA raz na 2 tyg.: MD=4,7 (95% CI: 3,2; 6,2),
 - w grupie stosującej LANA raz na 4 tyg.: MD=4,3 (95% CI: 2,8; 5,8);
- zmniejszenie średniej liczby ataków HAE zagrażających życiu (*high-morbidity*):
 - W grupie stosującej LANA raz na 2 tyg.: MD=-0,19 (95% CI: -0,30; -0,07), RR=0,15 (95% CI: 0,04; 0,65),
 - W grupie stosującej LANA raz na 4 tyg.: MD=-0,19 (95% CI: -0,30; -0,08), RR=0,14 (95% CI: 0,03; 0,58);
- zmniejszenie odsetka chorych wymagających zastosowania jakiegokolwiek leczenia na żądanie w czasie ataku HAE:
 - W grupie stosującej LANA raz na 2 tyg.: RR=0,46 (95% CI: 0,30; 0,70), NNT=2 (95% CI: 2;3),

- W grupie stosującej LANA raz na 4 tyg.: RR=0,57 (95% CI: 0,41; 0,79), NNT=3 (95% CI: 2;5);
- zmniejszenie prawdopodobieństwa konieczności zastosowania jakiegokolwiek leczenia wspomagającego:
 - w grupie stosującej LANA raz na 2 tyg.: RR=0,12 (95% CI: 0,02;0,84), NNT= 4 (95% CI: 3; 9),
 - w grupie stosującej LANA raz na 4 tyg.: RR=0,22 (95% CI: 0,05; 0,89), NNT=5 (95% CI: 3;13);
- jakość życia (zmniejszenie wyniku kwestionariusza AE-QoL):
 - W grupie stosującej LANA raz na 2 tyg.: MD=-16,57 (95% CI: - 28,53; -4,62),
 - W grupie stosującej LANA raz na 4 tyg.: MD=-12,66 (95% CI: -24,51; -0,80).

Brak różnic istotnych statystycznie odnotowano dla następujących punktów końcowych:

- liczba pacjentów z atakami HAE wg czasu trwania,
- średni czas trwania ataku HAE.

Bezpieczeństwo

W badaniu *HELP* w żadnej z analizowanych podgrup nie stwierdzono ciężkich zdarzeń niepożądanych zaistniałych w trakcie leczenia (TEAEs, z ang. *Treatment Emergent Adverse Events*), ani zgonów. Większość TEAEs występowała w łagodnym lub umiarkowanym stopniu ciężkości.

W grupie stosującej LANA raz na 2 tyg. vs PBO stwierdzono istotnie większe, o 27% ryzyko występowania jakichkolwiek TEAEs, RR=1,27 (95 % CI: 1,05; 1,54), NNH=5 (95% CI: 3;18), p=0,0121 oraz ponad dwukrotnie zwiększone ryzyko wystąpienia TEAEs związanych z leczeniem, RR=2,06 (95% CI: 1,26; 3,37), NNH=3 (95% CI: 2;8), p=0,0039.

Należy jednak zaznaczyć, że większość (93,3%) z występujących TAEs było związanych z reakcjami w miejscu podania, a istotnie zwiększona częstość TEAEs wynikała z różnic w częstości raportowanego bólu w miejscu podania.

W grupie stosującej LANA raz na 4 tyg. vs PBO nie stwierdzono znamienych różnic w częstości występowania jakichkolwiek TAEs, TAEs związanych z leczeniem, a także ciężkich i takich, które prowadziły do przerwania procesu leczenia.

W badaniu *HELP* odnaleziono także dane dotyczące częstości poszczególnych TAEs związanych z leczeniem (przedstawiono te zdarzenia, które występowały $\geq 5\%$ pacjentów z łącznej grupy chorych leczonych LANA). Tylko w przypadku bólu w miejscu iniekcji dla porównania LANA 300 mg względem placebo odnotowano istotne różnice. Ryzyko wystąpienia tego zdarzenia było prawie dwukrotnie wyższe podczas terapii lanadelumabem, RR=1,93 (95% CI: 1,04; 3,60), NNH=4 (95% CI: 3; 56).

Dodatkowa analiza bezpieczeństwa

Według ChPL Takhzyro zdarzenia występujące bardzo często to: reakcje w miejscu wstrzyknięcia. Zdarzenia występujące często to: nadwrażliwość, zawroty głowy, wysypka grudkowo-plamista, ból mięśni, zwiększenie aktywności amonotransferazy alaninowej, zwiększenie aktywności aminotransferazy asparaginaninowej.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Wskazanie, którego dotyczy wnioszek, zawiera się we wskazaniu rejestracyjnym produktu leczniczego Takhzyro. Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania dla ocenianego produktu leczniczego została oceniona przez EMA na etapie rejestracji. Na podstawie przedstawionych danych dotyczących

jakości, bezpieczeństwa i skuteczności CHMP (ang. Committee for Medicinal Products for Human Use) uważa, że relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania jest pozytywna.

Ograniczenia analizy

- Do badania HELP włączano chorych ze stwierdzonym przynajmniej 1 atakiem HAE, potwierdzonym przez badacza w ciągu 4 tygodni okresu wprowadzającego. Włączając chorych do badania HELP nie uwzględniano w kryteriach ciężkości i lokalizacji ataków HAE. Dodatkowo w badaniu wskazano, że ponad połowa pacjentów (56%) stosowała wcześniej leczenie profilaktyczne. W ocenianym wniosku wskazano informacje nt. wcześniejszego leczenia doraźnego, nie wskazano jednak informacji nt. częstości ataków. Ograniczone jest zatem określenie czy populacja wnioskowana w pełni odpowiada populacji z badania klinicznego.
- Badanie HELP charakteryzowało się stosunkowo krótkim okresem obserwacji (26 tygodni), co utrudnia długoterminową ocenę skuteczności i bezpieczeństwa terapii lanadelumabem.

Efektywność technologii alternatywnej

ChPL Cinryze

Dane z dwóch randomizowanych badań z podwójnie ślełą próbą, kontrolowanych placebo (LEVP 2005-1/A i LEVP 2005-1/B), dane z dwóch badań otwartych (LEVP 2006-1 i LEVP 2006-4) oraz dwóch badań klinicznych prowadzonych u dzieci i młodzieży (0624-203 i 0624-301) wykazały skuteczność produktu leczniczego Cinryze w leczeniu i zapobieganiu napadom obrzęku naczynioruchowego u pacjentów z HAE.

Badanie LEVP 2005-1/B było badaniem randomizowanym, podwójnie zaślepionym, kontrolowanym placebo, skrzyżowanym; skuteczność oceniano u 22 pacjentów (randomizowanych i leczonych w obu okresach skrzyżowania). Badanie wykazało, że profilaktyczne stosowanie produktu leczniczego Cinryze powodowało ponad 2-krotne zmniejszenie liczby napadów HAE, w porównaniu do placebo (średnio 6,3 napadów dla produktu leczniczego Cinryze vs. 12,8 napadów w grupie placebo; $p < 0,0001$). Ponadto napady obrzęku naczynioruchowego były również mniej nasilone podczas profilaktycznego stosowania produktu leczniczego Cinryze, w porównaniu do placebo (średni współczynnik nasilenia 1,3 vs. 1,9 lub zmniejszenie o 32%; $p = 0,0008$) oraz trwały krócej (średnio 2,1 dni vs. 3,4 dni lub zmniejszenie o 38%; $p = 0,0004$). Całkowita liczba dni występowania obrzęku w trakcie profilaktycznego stosowania produktu leczniczego Cinryze zmniejszyła się w porównaniu do placebo (średnio 10,1 dni vs. 29,6 dni lub zmniejszenie o 66%; $p < 0,0001$). Dodatkowo w fazie otwartej w leczeniu napadu HAE konieczna była mniejsza liczba wlewów produktu leczniczego Cinryze w porównaniu z placebo (średnio 4,7 wlewów vs. 15,4 wlewów lub zmniejszenie o 70%; $p < 0,0001$).

W badaniu otwartym LEVP 2006-4, 146 pacjentów przyjmowało produkt leczniczy Cinryze w ramach profilaktyki napadów HAE, przez okres od 8 dni do około 32 miesięcy (średnio 8 miesięcy). Przed włączeniem do badania mediana liczby napadów HAE zgłaszanych przez pacjentów w ciągu jednego miesiąca wynosiła 3,0 (zakres: 0,08–28,0); w trakcie podawania produktu leczniczego Cinryze w profilaktyce odsetek ten wynosił 0,21 (zakres 0–4,56), a u 86% pacjentów występował średnio jeden napad na miesiąc lub mniej. U uczestników badania otrzymujących profilaktycznie produkt leczniczy Cinryze przez co najmniej 1 rok liczba napadów w ciągu miesiąca pozostawała konsekwentnie mała (0,34 napady na miesiąc), w porównaniu do częstości ich występowania przed rozpoczęciem badania.

Ocena konkurencyjności cenowej

Według wniosku załączonego do zlecenia MZ koszt 3-miesięcznej terapii lanadelumabem wynosi ██████████ zł brutto.

Koszt 3 miesięcznej terapii uwzględniający cenę zaproponowaną we wniosku refundacyjnym wyniósłby bez RSS: ██████████ brutto.

Nie odnaleziono informacji o cenie produktu Cinryze (alternatywna technologia lekowa) na rynku polskim.

Ocena wpływu na system ochrony zdrowia, w tym wpływu na budżet płatnika publicznego i świadczeniobiorców

W związku z przeprowadzoną oceną wniosku refundacyjnego dla lanadelubamu, należy zaznaczyć, że, zaproponowany program lekowy obejmuje populację pacjentów z HAE, która odnosiłaby największe korzyści ze stosowania Takhzyro i jednocześnie odpowiadała populacji pacjentów wnioskujących o leczenie w ramach RDTL. Na podstawie informacji przedstawionych w analizie weryfikacyjnej (OT.4331.3.2020) uznano, że liczba pacjentów mogących stosować Takhzyro w ramach RDTL wynosi

Szacowany inkrementalny wpływ na budżet NFZ wynosi w scenariuszu podstawowym

Omówienie rekomendacji w odniesieniu do ocenianej technologii

Odnaleziono rekomendacje kliniczne odnoszące się do ocenianej technologii medycznej następujących instytucji:

- European Society for Immunodeficiencies and European Reference Network on Rare Primary Immunodeficiency, Autoinflammatory and Autoimmune Diseases (ESID & ERN RITA) 2020
- Australasia Society of Clinical Immunology and Allergy (ASCIA) 2020
- Canadian Hereditary Angioedema Network. (CHAN) 2019
- German Association of Scientific Medical Societies (GASMS) 2019
- Polskie Towarzystwo Alergologiczne (PTA) 2018
- World Allergy Organization/European Academy of Allergy and Clinical Immunology (WAO/EAACI) 2018
- US Hereditary Angioedema Association Medical Advisory Board (HAEA MAB) 2016
- French National Center for Angioedema (FNCA) 2015
- National Management Guidelines (NMG) 2014
- Japanese Association for Complement Research (JACR) 2012
- Hereditary Angioedema International Working Group (HAIWG) 2014
- Farkas 2017
- Longhurts 2015

W odnalezionych wytycznych wskazano, że leczenie dziedzicznego obrzęku naczynioruchowego uwzględnia terapię ostrych ataków choroby, przedzabiegowe zapobieganie stanom ostrym oraz rutynowe leczenie zapobiegawcze nawracających napadów obrzęku naczynioruchowego.

W ramach rutynowego leczenia zapobiegawczego w zależności od źródła zaleca się stosowanie C1-INH, androgenów lub leków antyfibrynolitycznych. Lanadelumab jest wymieniany wśród opcji rutynowego leczenia zapobiegawczego tylko w najnowszych wytycznych (ESID & ERN RITA 2020, ASCIA 2020, CHAN 2019). Brak uwzględnienia lanadelubamu w pozostałych wytycznych wynika z daty dopuszczenia leku do obrotu (2018).

Podstawa przygotowania opinii

Opinia została przygotowana na podstawie zlecenia z dnia 29.05.2020 Ministra Zdrowia (znak pisma: PLD.4530.1015.2020.1.AK), odnośnie przygotowania opinii Agencji w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych produktu leczniczego: Takhzyro (lanadelumab), we wskazaniu: wrodzony obrzęk naczynioruchowy z niedoboru C1-inhibitora (ICD-10 D84.1), w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowej, na podstawie art. 47f ust. 1 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz.U. z 2019 r., poz. 1373 z późn. zm.), na podstawie Opinii Rady Przejrzystości nr 152/2020 z dnia 22 czerwca 2020 roku w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Takhzyro (lanadelumab) we wskazaniu: wrodzony obrzęk naczynioruchowy z niedoboru C1-inhibitora (ICD-10 D84.1) oraz raportu nr OT.422.64.2020, Takhzyro (lanadelumab) we wskazaniu wrodzony obrzęk naczynioruchowy z niedoboru C1-inhibitora (ICD-10 D84.1), data ukończenia: 19 czerwca 2020r.

PREZES

dr n. med. Roman Topór-Mądry

/dokument podpisany elektronicznie/