



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 42/2021 z dnia 6 kwietnia 2021 roku
w sprawie oceny leku Ultomiris (rawulizumab) w ramach programu
lekowego „Leczenie nocnej napadowej hemoglobinurii (PNH)
(ICD-10 D59.5) rawulizumabem”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Ultomiris (rawulizumab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 300 mg, 1 fiol., GTIN 05391527743552, w ramach programu lekowego „Leczenie nocnej napadowej hemoglobinurii (PNH) (ICD-10 D59.5) rawulizumabem”, w ramach istniejącej grupy limitowej dla ekulizumabu i wydawanie go bezpłatnie, pod warunkiem

Rada proponuje uwzględnić w kryteriach włączenia do programu lekowego pacjentów nieskutecznie leczonych allo-HSCT.

Rada sugeruje zintegrowanie proponowanego programu lekowego z istniejącym programem leczenia ekulizumabem.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Napadowa nocna hemoglobinuria (PNH) jest rzadką chorobą układu krwiotwórczego, charakteryzująca się napadową hemolizą i powikłaniami zakrzepowymi. Leczenie wspomagające w przypadku PNH obejmuje stosowanie erytropoetyny, przetaczania koncentratu krwinek czerwonych, suplementację kwasu foliowego, żelaza, witaminy B12, stosowanie steroidów, leków immunosupresyjnych oraz przeciwzakrzepowych.

Leczeniem przyczynowym PNH są inhibitory białka C5 układu dopełniacza, dostępny w ramach programu lekowego podawany dożylnie co 2 tygodnie - ekulizumab i wnioskowany rawulizumab.

Rawulizumab jest lekiem o przedłużonym działaniu, podawanym co 8 tygodni.

Dowody naukowe

Pochodzą z badań ALXN1210-PNH-301 oraz 302, randomizowanych, wielośrodkowych prób klinicznych, typu non-inferiority, w których głównym punktem końcowym było stężenie LDH i w których wykazano, że rawulizumab



jest nie mniej skuteczny (non inferior) niż ekulizumab, zarówno u chorych wcześniej nieleczonych ekulizumabem, jak i u chorych, którzy byli wcześniej skutecznie leczeni ekulizumabem. U chorych leczonych rawulizumabem rzadziej dochodziło do hemolizy.

Problem ekonomiczny

[Redacted]

[Redacted]

Główne argumenty decyzji

- *Nie gorsza skuteczność i podobne bezpieczeństwo do ekulizumabu,*
- *Bardzo wysoki koszt i [Redacted] tej terapii.*

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 523), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2020 r., poz. 1398 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OT.4231.1.2021 „Wniosek o objęcie refundacją leku Ultomiris (rawulizumab) w ramach programu lekowego Leczenie nocnej napadowej hemoglobinurii (PNH) (ICD-10 D59.5) rawulizumabem”. Data ukończenia: 24.03.2021 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy Alexion Europe SAS.

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Alexion Europe SAS 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: Alexion Europe SAS.