

Janssen-Cilag Polska Sp. z o.o.

ul. Iłżecka 24
02-135 Warszawa, Polska
tel. +48 22 237 60 00
fax +48 22 237 30 31

www.janssen.pl



Warszawa, dnia 16 kwietnia 2021 r.

Pan dr n. med. Roman Topór-Mądry

Prezes Agencji Oceny Technologii

Medycznych i Taryfikacji

Dotyczy odpowiedzi na pismo znak OT.4231.18.2021.AKJ.3 w sprawie niezgodności analiz przedłożonych we wnioskach o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu dla leku: Darzalex, daratumumabum, roztwór do wstrzykiwań, 1800 mg (120 mg/ml), 1 fiol. 15 ml, kod EAN: 05413868119596

Nr ref: JC/MEA/20/04/2021

Szanowny Panie Prezesie,

Odpowiadając na pismo nr OT.4231.18.2021.AKJ.3 z dnia 9.04.2021r. dotyczące minimalnych wymagań, jakie muszą spełniać analizy dołączone do wniosku o objęcie refundacją produktu leczniczego:

- Darzalex, daratumumabum, roztwór do wstrzykiwań, 1800 mg (120 mg/ml), 1 fiol. 15 ml, kod EAN: 05413868119596

we wskazaniu wynikającym ze złożonego wniosku i treści uzgodnionego programu lekowego: „Leczenie chorych na opornego lub nawrotowego szpiczaka plazmocytoowego (ICD10 C90.0)” przedstawiam odpowiedzi na uwagi zawarte w dokumencie:

I – w ramach wszystkich analiz

1. *Informacje zawarte w analizach muszą być aktualne na dzień złożenia wniosku, co najmniej w zakresie skuteczności, bezpieczeństwa, cen oraz poziomu i sposobu finansowania technologii wnioskowanej i technologii opcjonalnych (§ 2 Rozporządzenia).*

Wyjaśnienie: Analizy wnioskodawcy były aktualne na dzień złożenia wniosku. Niemniej biorąc pod uwagę krótki okres obowiązywania decyzji o dopuszczeniu do obrotu produktu Darzalex (DARA) w postaci roztworu do wstrzykiwań podskórnych (SC) w momencie składania wniosku refundacyjnego, uwzględnione w analizach wytyczne kliniczne mogły nie odnosić się do tej postaci leku. W związku z publikacją licznych nowych wytycznych w 2021 r. m.in. International

Myeloma Working Group 2021, NCCN 5.2021, ESMO 2021, PGSz 2021, proszę o ich uwzględnienie w przedłożonych analizach.

Jednocześnie biorąc pod uwagę krótki czas obowiązywania decyzji administracyjnej dla prezentacji leku Darzalex do podania dożylnego (IV) w momencie składania wniosku refundacyjnego, zwracam się z prośbą o aktualizację danych sprzedażowych i uwzględnienie w analizach danych obejmujących cały rok 2020.

Odpowiedź wnioskodawcy: Zaktualizowane zostały:

- analiza problemu decyzyjnego w zakresie wytycznych praktyki klinicznej oraz aktualnej praktyki klinicznej (liczba pacjentów leczonych w ramach programu lekowego B.54),
- liczba pacjentów i średnia liczba podań leku na pacjenta na roku w analizie wpływu na budżet płatnika (na podstawie danych sprawozdawczych z programu lekowego B.54; uzupełnienie analiz w wymienionym zakresie przedstawiono w rozdz. A.2).

II – w ramach analizy ekonomicznej

1. *Analiza podstawowa nie zawiera wyszczególnienia wszystkich założeń, na podstawie których dokonano oszacowań, o których mowa w pkt 1–4 i ust. 6 pkt 1 i 2 oraz kalkulacji, o której mowa w ust. 6 pkt 3 (§ 5 ust. 2 pkt 6 Rozporządzenia).*

Wyjaśnienie: Wnioskodawca wskazał, iż średni czas trwania leczenia schematem DVd oszacowano na podstawie mediany czasu trwania leczenia schematem DVd uwzględnionej w analizie ekonomicznej dla schematu DVd ocenianej przez AOTMiT w 2018 roku. Zasadnym jest przedstawienie szczegółowego omówienia przeprowadzonych oszacowań i założeń w powyższym zakresie.

Odpowiedź wnioskodawcy: Dokonano uzupełnienia analizy o dodatkowe dane w zakresie czasu trwania leczenia (dane poufne z analizy ekonomicznej ocenianej przez AOTMiT w 2018 r. – rozdz. A.3) oraz zamieszczono sposób oszacowania średniego czasu trwania leczenia (rozdz. 3.2).

2. *Analiza wrażliwości nie zawiera określenia zakresów zmienności wartości wykorzystanych do uzyskania oszacowań, o których mowa w ust. 2 pkt 5 oraz nie zawiera uzasadnienia zakresów zmienności, o których mowa w pkt 1 (§ 5 ust. 2 pkt 1 i 2 Rozporządzenia).*

Wyjaśnienie: W analizie ekonomicznej wnioskodawcy pominięto istotny parametr modelu – taki sam koszt związany z podaniem leków.

Odpowiedź wnioskodawcy: Analizę uzupełniono o analizę wrażliwości w wyżej wymienionym zakresie.

III – w ramach analizy wpływu na budżet

1. Analiza wpływu na budżet nie zawiera klarownego oszacowania rocznej liczebności populacji obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana (§ 6 ust. 1 pkt 1 lit a Rozporządzenia).

Wyjaśnienie: [REDACTED]

2. Analiza wpływu na budżet nie zawiera oszacowania rocznej liczebności populacji, w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana (§ 6 ust. 1 pkt 1 lit c Rozporządzenia).

Wyjaśnienie: W analizie wpływu na budżet przedstawiono jedynie informacje o liczebności populacji stosującej obecnie DARA IV, pominięto dane dotyczące stosowania DARA SC.

Odpowiedź wnioskodawcy: Aktualnie preparat DARA SC nie jest finansowany ze środków publicznych zatem w analizie przyjęto, że żaden pacjent nie jest leczony z zastosowaniem DARA SC. W ramach uzupełnienia analiz dodano informację w odpowiednim rozdziale (rozd. 1.2.4).

3. Analiza wpływu na budżet nie zawiera wyszczególnienia wszystkich założeń, na podstawie których dokonano oszacowań, o których mowa w pkt 1–3, 6 i 7 oraz prognoz, o których mowa w pkt 4 i 5, w szczególności założeń dotyczących kwalifikacji wnioskowanej technologii do grupy limitowej i wyznaczenia podstawy limitu (§ 6 ust. 1 pkt 8 Rozporządzenia).

Wyjaśnienie: W analizie nie przedstawiono wyjaśnienia części założeń, w tym m.in. dla przyjętego rozpowszechnienia terapii DARA SC i IV w scenariuszu nowym.

Odpowiedź wnioskodawcy: Dokonano uzupełnienia analizy o wyjaśnienie dotyczące rozpowszechnienia przyjętego w scenariuszu nowym analizy (rozd. 2.6.2).

4. Oszacowań, o których mowa w ust. 1 pkt 3, 6 i 7 oraz prognoz, o których mowa w ust. 1 pkt 4 i 5, nie dokonano na podstawie oszacowań, o których mowa w ust. 1 pkt 1 i 2. Jeżeli nie jest możliwe przedstawienie wiarygodnych oszacowań, o których mowa w ust. 1 pkt 1 i 2, analiza wpływu na budżet może zawierać dodatkowy wariant, w którym oszacowania te uzyskano w oparciu o inne dane (§ 6 ust. 3 Rozporządzenia).

Wyjaśnienie: W analizie wpływu na budżet nie przedstawiono oszacowań opartych na danych populacyjnych odniesionych do danych sprzedażowych, a jedynie na danych sprzedażowych. Zasadnym jest uwzględnienie wariantu populacyjnego w analizie wrażliwości lub przedstawienie dyskusji dotyczącej możliwości wykorzystania danych populacyjnych. Proszę jednocześnie o wskazanie czy rozpoczęcie refundacji daratumumabu w populacji pacjentów nowo zdiagnozowanych wpłynie na stopień wykorzystania terapii w kolejnych liniach leczenia.

Odpowiedź wnioskodawcy: Oszacowanie liczebności populacji docelowej w analizie wpływu na budżet zostało oparte na najbardziej wiarygodnych danych, tj. na podstawie liczby pacjentów leczonych w ramach programu lekowego B.54. [REDACTED]

5. Analiza wpływu na budżet nie zawiera dokumentu elektronicznego, umożliwiającego powtórzenie wszystkich kalkulacji, w wyniku których uzyskano oszacowania, o których mowa w pkt 1-3, 6 i 7 oraz prognozy, o których mowa w pkt 4 i 5 (§ 6 ust. 1 pkt 10 Rozporządzenia).
Wyjaśnienie: W dokumencie elektronicznym nie ma możliwości powtórzenia wszystkich oszacowań zaprezentowanych w wersji Word dokumentu. Przykładowo pominięto w nim oszacowania średniej liczby dawek DARA jaką pacjent otrzyma w ciągu roku.

Odpowiedź wnioskodawcy: W załączonych dokumentach elektronicznych dodano odpowiednie kalkulacje.

IV – w ramach wskazania źródeł danych

1. Wszystkie przedłożone analizy muszą zawierać dane bibliograficzne wszystkich wykorzystanych publikacji, z zachowaniem stopnia szczegółowości umożliwiającego jednoznaczną identyfikację każdej z wykorzystanych publikacji (§ 8 pkt 1 Rozporządzenia).

Wyjaśnienie: W analizie klinicznej nie przedstawiono szczegółowych odniesień do publikacji, z których zostały zaczerpnięte dane. Powyższe utrudnia weryfikację przedstawionych wyników. Również w analizie ekonomicznej wnioskodawca nie wskazał dokładnego źródła, z którego zaczerpnięto dane dotyczące średniej masy ciała pacjentów.

Odpowiedź wnioskodawcy: Spis publikacji włączonych do analizy klinicznej i stanowiących źródła danych przedstawiono w Rozdz. 3.1, w Tabeli 2. Ponadto w ramach odpowiedzi na

powyższą uwagę w Tabeli 2. gwiazdką (*) oznaczono publikacje główne do każdego z badań. Ekstrakcja danych została przeprowadzona i opisana w taki sposób, że:

- jeżeli wynik pochodził z publikacji głównej lub suplementu do niej – nie podawano wtedy informacji o źródle danych pod tabelami w rozdziałach z wynikami analizy klinicznej,
- jeżeli wynik pochodził z publikacji innej niż główna – wtedy pod tabelami z wynikami w przypisach podawano informację o źródle.

[Redacted text block]

2. Wszystkie przedłożone analizy muszą zawierać wskazanie innych źródeł informacji zawartych w analizach, w szczególności aktów prawnych oraz danych osobowych autorów niepublikowanych badań, analiz, ekspertyz i opinii (§ 8 pkt 2 Rozporządzenia).

Wyjaśnienie: Z uwagi na korzystanie w przedłożonych analizach z opinii eksperckich, zasadnym jest dołączenie ich do dokumentacji przekazanej wraz z wnioskiem.

Odpowiedź wnioskodawcy: Dokumenty uzupełniono o brakujący plik z odpowiedziami ankietowanych ekspertów klinicznych (arkusz kalkulacyjny *Darzalex_podsumowanie ankiet*).

Pozostałe

[Redacted text block]



Z Poważaniem,

Agnieszka Krzyżanowska

Health Economic, Market Access
and Reimbursement Head

Janssen – Cilag Polska Sp. z o.o.

Załączniki:

- 1) Analiza ekonomiczna;
- 2) Analiza kliniczna;
- 3) Analiza problemu decyzyjnego;
- 4) Analiza wpływu na budżet;
- 5) Analiza racjonalizacyjna;
- 6) Model – Analiza racjonalizacyjna;
- 7) Model – Analiza wpływu na budżet;
- 8) Uzupełnienie bibliografii

Wszystkie informacje zawarte w niniejszym dokumencie stanowią tajemnicę przedsiębiorcy w rozumieniu art. 11 ust. 4 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2019r, poz. 1010) tj. informacje posiadające wartość gospodarczą, co do której przedsiębiorca podjął niezbędne działania w celu zachowania ich poufności, a zatem dostęp do niniejszego załącznika podlega na mocy art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2019, poz. 1429), ograniczeniu.