



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 117/2021 z dnia 4 października 2021 roku
w sprawie oceny leku Adynovi (rurioctocogum alfa pegolum)
w ramach programu lekowego: „Zapobieganie krwawieniom u dzieci
z hemofilią A i B (ICD-10 D66, D67)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktów leczniczych Adynovi (rurioctocogum alfa pegolum) proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań:

- 2000 j.m., 1, fiol. proszku + 1 fiol. rozp. 5 ml, kod EAN: 00642621067132,
 - 1000 j.m., 1, fiol. proszku + 1 fiol. rozp. 2 ml, kod EAN: 00642621067125,
 - 500 j.m., 1, fiol. proszku + 1 fiol. rozp. 2 ml, kod EAN: 00642621067118,
 - 250 j.m., 1, fiol. proszku + 1 fiol. rozp. 2 ml, kod EAN: 00642621067101,
- w ramach programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B (ICD-10 D66, D67)”, w ramach istniejącej grupy limitowej 1090.1 Factor VIII coagulationis humanus recombinante i wydawanie ich bezpłatnie, wyłącznie pod warunkiem [redacted] instrumentu dzielenia ryzyka poprzez [redacted].*

Rada zwraca uwagę na konieczność [redacted] wskazań w programie lekowym dla leku Adynovi, w taki sposób, aby były one [redacted].

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Hemofilia jest najczęstszą wrodzoną skazą krwotoczną. Rokowanie związane z występowaniem hemofilii A i B jest korzystne, pod warunkiem stosowania odpowiedniego leczenia substytucyjnego, które ogranicza krótki okres półtrwania czynnika VIII. Rurioktokog alfa pegol jest pegylowanym, rekombinowanym ludzkim czynnikiem VIII o wydłużonym okresie półtrwania.

W większości krajów rozwiniętych, dzięki powszechnemu stosowaniu profilaktyki pierwotnej, w dużym stopniu udało się wyeliminować artropatię hemofilową, dla porównania, w Polsce prawie 100% dorosłych chorych z ciężką postacią hemofilii jest inwalidami w zakresie układu ruchu.



Dowody naukowe

Brak jest badań bezpośrednio porównujących stosowanie Adynovi względem wybranych komparatorów. W dostępnych badaniach, dotyczących wnioskowanej interwencji, nie można wyodrębnić danych dla populacji pediatrycznej, oprócz badania CONTINUATION, które przedstawia dane dla populacji zbliżonej pod względem wieku do populacji docelowej (30 pacjentów było w wieku ≥ 12 do < 18 lat, 33 osoby w wieku od 6 do < 12 lat, a 32 osoby w wieku < 6 lat).

Wyniki badań wskazują, że wnioskowana technologia jest równie skuteczna, lecz nie lepsza od technologii alternatywnych. Dwie uznane narodowe agencje HTA HAS i IQWiG uznały, że Adynovi nie zapewnia istotnych korzyści w porównaniu z dostępnymi opcjami alternatywnymi.

Problem ekonomiczny

Koszty refundowania nowej technologii obarczone są znaczną niepewnością, z uwagi na nieznaną procedurę przetargową.

Można jednak oszacować, że przy całkowitym przejściu rynku przez Adynovi wydatki płatnika publicznego, [REDAKTOWANE] w populacji docelowej [REDAKTOWANE].

Główne argumenty decyzji

W przypadku zapewnienia [REDAKTOWANE] dopuszczenie leku o prawdopodobnie porównywalnej skuteczności (pomimo braku porównań bezpośrednich) jest uzasadnione, pod warunkiem uwzględnienia w programie zmian pozwalających na stosowanie leku [REDAKTOWANE].

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 2021 r., poz. 1285 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OT.4231.36.2021 „Wniosek o objęcie refundacją leku Adynovi (rurioctocogum alfa pegolum) we wskazaniu: w ramach programu lekowego »Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B (ICD-10 D 66, D 67)«”. Data ukończenia: 23.09.2021 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Takeda Pharma Sp. z o.o.).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem (Takeda Pharma 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: (Takeda Pharma Sp. z o.o.).