



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 61/2022 z dnia 4 lipca 2022 roku

w sprawie oceny leku Ilaris (canacinumabum) w ramach programu lekowego: „Leczenie wrodzonych zespołów autozapalnych (ICD-10 E85, R50.9, D89.8, D89.9)”

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Ilaris (canacinumabum), roztwór do wstrzykiwań, 150 mg/ml, 1, fiol., kod EAN: 07613421054038, w ramach programu lekowego „Leczenie wrodzonych zespołów autozapalnych (ICD-10 E85, R50.9, D89.8, D89.9)”, w ramach istniejącej grupy limitowej 1153.0 Anakinra i wydawanie go bezpłatnie.*

*Rada Przejrzystości wskazuje na konieczność zaproponowania instrumentu dzielenia ryzyka i*

*Rada nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego.*

#### **Uzasadnienie**

##### Problem decyzyjny

*Przedmiotem zlecenia Ministra Zdrowia jest przygotowanie analizy weryfikacyjnej AOTMiT, stanowiska Rady Przejrzystości oraz rekomendacji Prezesa AOTMiT w przedmiocie objęcia refundacją produktu leczniczego Ilaris, Canacinumabum, roztwór do wstrzykiwań, 150 mg/ml, 1, fiol., kod EAN: 07613421054038 we wskazaniu leczenie wrodzonych zespołów autozapalnych (E85, R50.9, D89.8, D89.9) – w kriopirynopatiach (CAPS) (rodzinnym zespole autozapalnym wywołany zimnem (FCU), zespole Muckle’a-Wellsa (MWS), przewlekłym zespole neurologiczno-skrórno-stawowy noworodków (CINCA/NOMID)), okresowych nawracających gorączkach (rodzinnej gorączce śródziemnomorskiej (FMF), okresowej gorączce związanej z niedoborem kinazy mewalonianowej (HIDS/MKD) oraz zespole okresowych gorączek związanym z defektem receptora dla czynnika martwicy nowotworów (TRAPS)). Proponowane wskazanie w programie lekowym jest zgodne z zapisami ChPL.*

##### Dowody naukowe

*Główne dowody potwierdzające skuteczność i bezpieczeństwo terapii z wykorzystaniem kanakinumabu stosowanego w leczeniu autozapalnych zespołów gorączek nawrotowych pochodzą z badań REMITTER i CLUSTER.*



W badaniu REMITTER (Lachmann 2009) porównano skuteczność terapii kanakinumabem z placebo w populacji z okresowymi zespołami zależnymi od kriopiryny (CAPS). Wykazano, że terapia kanakinumabem prowadzi do skutecznej supresji występowania nawrotów choroby. W końcowym etapie badania minimalną aktywność choroby stwierdzano niemal u wszystkich pacjentów (97%).

W badaniu CLUSTER (De Benedetti 2018) porównywano skuteczność kanakinumabu (KAN) u pacjentów z rodzinną gorączką śródziemnomorską oporną na leczenie kolchicyną (crFMF), niedoborem kinazy mewalonowej (MKD)/ zespołem hiperimmunoglobulinemii D (HIDS) oraz pacjentów z gorączkami okresowymi związanymi z defektem receptora dla czynnika martwicy nowotworów (TRAPS). Wykazano, że stosowanie kanakinumabu wiąże się z wystąpieniem odpowiedzi całkowitej na leczenie 16 tygodniu terapii u 35% pacjentów z HIDS/MKD oraz 71% w przypadku uwzględnienia pacjentów, którzy otrzymali dodatkową dawkę kanakinumabu. W przypadku TRAPS wystąpieniem odpowiedzi całkowitej na leczenie w 16 tygodniu terapii u 64% pacjentów oraz 73% w przypadku uwzględnienia pacjentów, którzy otrzymali dodatkową dawkę kanakinumabu. Dla pacjentów z crFMF odsetek pacjentów z remisją wyniósł 81% w 15 dni leczenia. Analiza bezpieczeństwa wykazała akceptowalny profil działań niepożądanych. Odnalezione wytyczne rekomendują w analizowanych wskazaniach inhibitory IL 1, tj. oceniany kanakinumab oraz anakinrę (komparator). Również ankietowani przez Agencję eksperci kliniczni wskazali anakinrę (komparator), jako jedyną dostępną obecnie opcję terapeutyczną, finansowaną z budżetu państwa.

#### Problem ekonomiczny

W przeprowadzonej analizie ekonomicznej (analizę konsekwencji kosztów – CCA) oszacowano, że stosowanie kanakinumabu w miejsce anakinry

Analiza wpływu na budżet płatnika publicznego wykazała, że stosowanie kanakinumabu przy zakładanej populacji w leczeniu dorosłych, młodzieży i dzieci w wieku 2 lat i starszych z następującymi autozapalnymi zespołami gorączek nawrotowych: CAPS (MWS, NOMID / CINCA, FCAS / FCU), TRAPS, HIDS / MKD, crFMF), w ramach proponowanego programu lekowego, spowoduje

Większość rekomendacji refundacyjnych było pozytywnych przy jednoczesnym zwróceniu uwagi na efektywność kliniczną interwencji.

#### Główne argumenty decyzji

Dostępne dane kliniczne potwierdzają zasadność stosowania inhibitora IL-1b w leczeniu wymienionych w zleceniu wskazań. W chwili obecnej w wymienionej grupie pacjentów dostępna jest anakinra, której koszt stosowania jest [redacted]. Brak jest danych klinicznych demonstrujących wyższość kanakinumabu nad anakinrą we wnioskowanych wskazaniach, poza wyraźnie rzadszym stosowaniem kanakinumabu, co ma istotne znaczenia u pacjentów pediatrycznych. Wobec powyższego finansowanie kanakinumabu może być uzasadnione po zaproponowaniu instrumentu dzielenia ryzyka obniżającego znacząco koszty leczenia. W przypadku nieuwzględnienia propozycji zastosowania mechanizmu dzielenia ryzyka stosowanie kanakinumabu jest uzasadnione wyłącznie u pacjentów, u których anakinra okazała się nieskuteczna lub była źle tolerowana.

#### **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 2022 r., poz. 463), 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.4231.21.2022 „Wniosek o objęcie refundacją leku Ilaris (kanakinumab) w ramach programu lekowego: Leczenie wrodzonych zespołów autozapalnych (ICD 10 E85, R50.9, D89.8, D89.9)”. Data ukończenia: 23 czerwca 2022 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia eksperta przedstawiona w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

*Dane zakreślone kolorem żółtym stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy Novartis Poland Sp. z o.o.*

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem Novartis Poland 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:** Novartis Poland Sp. z o.o.