

Krzysztof Adamcewicz
Prokurent

Katarzyna Tomczak
Prokurent



Pan dr n. med. Roman Topór-Mądry

Prezes

Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

ul. Przeskok 2

00-032 Warszawa

Wnioskodawca

Roche Polska Sp. z o. o.

ul. Domaniewska 28

02-672 Warszawa

Warszawa, dnia 19 maja 2023 r.

Dotyczy: oceny leku Hemlibra w ramach modułu 4 „Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2024-2028”

Szanowny Panie Prezesie,

Działając w imieniu Roche Polska Sp. z o.o. (dalej jako „Spółka”) niniejszym przekazujemy odpowiedzi na uwagi zawarte w piśmie OT.4220.41.2022.MR.16 dot. raportu dla leku Hemlibra®, przekazanego przez Spółkę w związku z prowadzonym w Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, zgodnie z art. 31 n pkt 5 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2022 r. poz. 2561, z późn. zm.), procesem wydania opinii w sprawie oceny zasadności wprowadzenia produktu leczniczego Hemlibra dla pacjentów z ciężką postacią hemofilii A bez inhibitora w ramach modułu 4 programu polityki zdrowotnej pn. „Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2024-2028”.

Uwaga do całości analiz:

W analizie klinicznej wybór komparatorów należy dokonać w oparciu o aktualne wytyczne i standardy postępowania oraz aktualną praktykę kliniczną z uwzględnieniem technologii medycznych obecnie finansowanych ze środków publicznych.

Zgodnie z wytycznymi AOTMiT z 2016: „Na wstępnym etapie wyboru komparatora należy rozpatrzyć wszystkie potencjalne interwencje opcjonalne, które można zastosować w ocenianym wskazaniu, zwłaszcza finansowane ze środków publicznych w Polsce. W rozważaniach należy uwzględnić technologie z danej grupy terapeutycznej,

Roche Polska Sp. z o.o.

ul. Domaniewska 28
02-672 Warszawa
Polska

Tel. +48 22 345 1888
Fax +48 22 345 1874
www.roche.pl

jak również inne technologie, które stosuje się w ocenianym wskazaniu w celu osiągnięcia podobnego celu terapeutycznego co w przypadku ocenianej interwencji.”

Odpowiedź:

Kształt populacji docelowej został szczegółowo określony przez ośrodki leczenia hemofilii, które wystosowały prośbę o umożliwienie stosowania emicizumabu u chorych z hemofilią A bez inhibitora. Populacji docelowa, w której będzie stosowany emicizumab obejmuje wyselekcjonowaną grupę chorych, u których stosowanie czynnika VIII nie jest możliwe lub klinicznie wskazane. Uwzględniając charakterystykę populacji docelowej formalnie czynnik VIII nie stanowi komparatora dla emicizumabu, a więc komparatorem dla emicizumabu będzie brak profilaktyki krwawień.

Analiza kliniczna:

W analizie klinicznej nie przedstawiono:

- *opisu technologii opcjonalnych, z wyszczególnieniem finansowanych technologii opcjonalnych, z określeniem sposobu i poziomu ich finansowania;*
- *opublikowanych przeglądów systematycznych spełniających kryteria selekcji badań pierwotnych;*
- *komunikatów/ostrzeżeń na temat bezpieczeństwa pochodzących z EMA, FDA i URPL lub informacji o braku takich komunikatów dotyczących stosowania technologii wnioskowanej.*

Zgodnie z wytycznymi AOTMiT z 2016 r. przegląd systematyczny należy przeprowadzić w Bibliotece Cochrane (Cochrane Library), bazie MEDLINE oraz bazie EMBASE, natomiast przegląd systematyczny przeprowadzono wyłącznie w bazie medycznej Medline (przez Pubmed).

Odpowiedź:

- *w analizie nie przedstawiono opisu technologii opcjonalnych, ponieważ przyjęto, że komparatorem dla emicizumabu będzie brak profilaktyki krwawień;*
- *analizę uzupełniono o przeglądy systematyczne. Szczegółowy opis przeglądów systematycznych oraz ich ocenę zaprezentowano w Rozdziałach 13.3. i 13.4.*
- *wykonano przegląd stron EMA, FDA i URPL w celu identyfikacji komunikatów/ostrzeżeń związanych ze stosowaniem wnioskowanej interwencji. Podsumowanie odnalezionych informacji zaprezentowano w Rozdziale 8.4.*

Ponadto analizę uzupełniono o przegląd systematyczny w bazach Embase i Cochrane. Dodatkowo przeprowadzono aktualizację przeglądu systematycznego w bazie Medline (przez Pubmed).

Analiza ekonomiczna, analiza wpływu na budżet:

Nie przedstawiono analizy ekonomicznej oraz analizy wpływu na budżet podmiotu zobowiązanego do finansowania.

W analizie wskazano, że: „Po przeanalizowaniu dostępnych danych klinicznych, w związku z brakiem danych dla populacji docelowej, odstąpiono od przeprowadzenia analizy kosztów użyteczności. W związku z tym,

iż niemożliwe było przeprowadzenie analizy kosztów użyteczności (CUA), przygotowano uzasadnienie dla przedstawionej oferty finansowej.”

Agencja zwraca uwagę, iż w wytycznych AOTMiT z 2016 r. wskazano na możliwość zastosowania innych technik (typów analizy), takich jak analiza efektywności kosztów, analiza minimalizacji kosztów oraz analiza konsekwencji kosztów. Brak możliwości przeprowadzenia analizy kosztów użyteczności nie uniemożliwia przeprowadzenia analizy ekonomicznej za pomocą innej techniki analitycznej. Należy wybrać odpowiednią technikę analityczną po prawidłowej selekcji technologii alternatywnych i wykonaniu analizy klinicznej.

Odpowiedź:

Po przeanalizowaniu dostępnych danych klinicznych, w związku z brakiem danych dla populacji docelowej, odstąpiono od przeprowadzenia analizy kosztów użyteczności, analizy efektywności kosztów oraz analizy minimalizacji kosztów. Niemniej jednak zgodnie z uwagą i możliwością przedstawienia analizy konsekwencji kosztów dołączono ją do przeprowadzonej analizy wraz z analizą wpływu na budżet oraz analizą uzasadnienia ceny.

Analiza racjonalizacyjna:

Zgodnie z zapisami art. 25 pkt 14 lit. c tiret czwarte ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, szacunki przedstawione w analizie racjonalizacyjnej powinny odnosić się do wyników analizy wpływu na budżet podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, w przypadku, gdy analiza ta wykazuje wzrost kosztów. W związku z brakiem przedłożenia analizy wpływu na budżet, nie wykonano prawidłowo analizy racjonalizacyjnej.

Odpowiedź:

W przedłożonej analizie przedstawiono uzasadnienie dla przedstawionej oferty finansowej. [REDACTED]

[REDACTED]

Uwaga:

Dodatkowo należy przedłożyć dokument elektroniczny, umożliwiający powtórzenie wszystkich kalkulacji.

Odpowiedź:

Do analizy zgodnie z uwagą dołączono dokument elektroniczny umożliwiający powtórzenie wszystkich kalkulacji.

Uwaga:

Agencja prosi o wskazanie imion i nazwisk autorów oraz ekspertów biorących udział w badaniu ankietowym i syndykatowym, których wyniki uwzględniono w analizach oraz o przekazanie danych NCK uwzględnionych w rozdziale „Uzasadnienie dla przedstawionej oferty finansowej”.

Odpowiedź:

Badanie ankietowe zostało przeprowadzone przez niezależnego wykonawcę w postaci badania dziennikowego. Uczestnicy ankiety zostali poddani anonimizacji co pozytywnie wpływa na obiektywizm badania i jego wyników. Nie jest zatem możliwe przedstawienie danych osobowych ekspertów z uwagi na fakt, iż Wnioskodawca dysponował wyłącznie danymi zagregowanymi, w których odpowiedzi nie były przypisane do określonych ekspertów klinicznych.

Do analizy zgodnie z uwagą dołączono dane otrzymane od Narodowego Centrum Krwi dotyczące wszystkich chorych na hemofilię A w tym powikłaną inhibitorem, leczonych w ramach Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię.

Z poważaniem,