



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 116/2024 z dnia 28 października 2024 roku
w sprawie oceny leku Kaftrio (ivacaftorum + tezacaftorum +
elexacaftorum) w ramach programu lekowego B.112 „Leczenie
chorych na mukowiscydozę (ICD-10: E84)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktów leczniczych:

- *Kaftrio (ivacaftorum + tezacaftorum + elexacaftorum), granulaty w saszetce, 75 mg + 50 mg + 100 mg, 28, saszetka, GTIN: 00351167172704,*
- *Kaftrio (ivacaftorum + tezacaftorum + elexacaftorum), granulaty w saszetce, 60 mg + 40 mg + 80 mg, 28, saszetka, GTIN: 00351167173305,*
- *Kaftrio (ivacaftorum + tezacaftorum + elexacaftorum), tabletki powlekane, 37,5 mg + 25 mg + 50 mg, 56, tabl., GTIN: 00351167149409,*
- *Kaftrio (ivacaftorum + tezacaftorum + elexacaftorum), tabletki powlekane, 75 mg + 50 mg + 100 mg, 56, tabl., GTIN: 00351167143902,*

w ramach programu lekowego B.112 „Leczenie chorych na mukowiscydozę (ICD-10: E84)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Objęcie refundacją wnioskowanych produktów leczniczych w ramach programu lekowego B.112.

Dowody naukowe

Dostępne dane wskazują na efektywność kliniczną, w odniesieniu do zastępczych punktów końcowych w perspektywie krótkoterminowej oraz zadowalający profil bezpieczeństwa stosowania wnioskowanej technologii. Brak jest danych dot. wpływu interwencji na przeżywalność chorych. Wytyczne kliniczne oraz ekspert popiera wprowadzenie finansowania. Jednakże w chwili obecnej, proponowana cena leku jest bardzo wysoka, parametry użyteczności kosztowej wielokrotnie przekroczone.

Problem ekonomiczny

Rada Przejrzystości uznaje proponowane warunki finansowe za dalece niewystarczające. Wydatki płatnika publicznego byłyby znaczne przy ograniczonych dowodach dot. skuteczności klinicznej.

Główne argumenty decyzji

- 1. Brak badań klinicznych wykazujących skuteczność wobec twardych punktów końcowych, takich jak przeżycie i odsetek transplantacji płuc.*
- 2. Stosowanie leku Kaftrio jest nieefektywne kosztowo na zaproponowanych warunkach.*
- 3. Obciążenia płatnika publicznego są nieadekwatnie wysokie wobec skuteczności klinicznej leku.*

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 2024 r., poz. 930 z późn. zm.), 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 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OT.423.1.44.2024 „Wniosek o objęcie refundacją leków Kaftrio (iwakaftor + tezakaftor + eleksakaftor) + Kalydeco (iwakaftor) we wskazaniu: Leczenie chorych na mukowiscydozę (ICD-10: E84)”, data ukończenia: 17 października 2024 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

- Opinia przedstawiciela pacjentów przedstawiona w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.