

Nyilvános összefoglaló

1. Kérelem tárgya

A kérelem az **Altuvoct 250NE por és oldószer oldatos injekcióhoz** készítmény társadalombiztosítási támogatásba történő felvételére irányul.

A kérelmező a nevezett termék **különkeretes** támogatását kéri a következő, alkalmazási előírásban szereplő indikációban:

„Vérzések kezelése és megelőzése hemofília A-ban (veleszületett VIII-as faktorhiány) szenvedő betegeknél, bármely korcsoportban.”

A készítmény hatóanyaga, a **B02BD02** ATC-kódú **efanezoktokog-alfa** hatóanyag, mely jelenleg nem támogatott.

Az **Altuvoct 250NE por és oldószer oldatos injekcióhoz** készítmény alkalmazási előírásában szereplő terápiás javallat pontosan megegyezik a kérelmezett indikációval.

A kérelem PICO struktúráját az 1. táblázat mutatja.

1. táblázat A kérelmezett indikáció PICO struktúrája

	Populáció	Beavatkozás	Komparátor	Végpont
Kérelmezett indikáció alapján definiált	hemofília A-ban (veleszületett VIII-as faktorhiány) szenvedő betegek, bármely korcsoport	efanezoktokog-alfa rutin profilaxis: heti 1x 50 NE/ttkg vérzés kezelése: 1x 50 NE/ttkg az ajánlott adag	profilaxis VIII-as véralvadási faktor készítményekkel	éves vérzésráta (ABR), éves ízületi vérzésráta (AJBR)
Orvosszakmai bizonyítékok alapján definiált	XTEND-1: korábban kezelt, 12 éves vagy annál idősebb, 1 NE/deciliter alatti (<1%) endogén VIII-as faktor aktivitású vagy dokumentáltan súlyos A hemofiliát okozó genotípussal rendelkező betegek (nem inhibitoros)	A csoport: 52 héten keresztül hetente egyszer 50 NE/kg intravénás efanezoktokog alfa profilaktikus dózis B csoport: 26 héten át igény szerint 50 NE/kg intravénás efanezoktokog alfa kezelés, majd 26 héten át hetente egyszer 50 NE/kg intravénás efanezoktokog alfa profilaktikus dózis	A betegek egy alcsoportja részt vett egy megfigyeléses elővizsgálatban (242HA201/OBS16221) és VIII-as faktorpótlással vagy profilaxist (Acsop) vagy on-demand (B csop) kezelést kaptak. → inpatient kontroll	A csoport: Elsődleges - éves vérzésráta (ABR) Másodlagos - vizsgálat előtti profilaxis alatti vérzési ráta betegen belüli összehasonlítása, stb.. Másodlagos - B csoport: évesített vérzési ráta betegen belüli összehasonlítása, stb..
	XTEND-Kids: korábban kezelt, 12 évesnél	52 héten keresztül hetente egyszer iv. profilaktikus efanezoktokog alfa	egykarú	Elsődleges: inhibitor kialakulása

	fiatalabb, súlyos A hemofiliás gyermekek (nem inhibitoros)	(50 NE/kilogramm)		Másodlagos: kezelt vérzéses epizódok évesített aránya, vérzés évesített aránya típus és hely szerint, az efanezoktokog alfa injekciók és adagok száma egy vérzéses epizód kezeléséhez, stb...
	MAIC: serdülő és felnőtt, súlyos, inhibitor nélküli hemofília A betegeknél	efanezoktokog alfa 50 NE/ttgk heti egyszer	SHL terápiák: (Advate, Kovaltry) EHL terápiák (Adynovate, Esperoct, Jivi, Elocta/Eloctate)	éves vérzésráta (ABR)
Egészség-gazdaságtani elemzésben szereplő	Veszélyeztetett hemofília A-ban szenvedő betegek	efanezoktokog alfa 50 NE/ttgk heti egyszer vérzés esetén további dózis adható	Advate SHL: 40 NE/kg 2 naponta Elocta EHL: 50 NE/kg 3 naponta Adynovi EHL: 50 NE/kg kétszer egy héten (3-4 naponta) Esperoct EHL: 50 NE/kg 4 naponta	faktoraktivitás szerinti ABR, vérzésmentes betegek aránya, HRQoL

Forrás: TEF saját összeállítás a benyújtott dokumentáció alapján

2. A kérelmezett indikációban alkalmazható és elérhető kezelési alternatívák

2.1. A kérelmezett indikációban alkalmazható kezelések

A betegség kezelése a hiányzó véralvadási faktor parenterális (iv.) szubsztitúcióján alapul. A vérzések kezelésére, illetve profilaxis céljából plazma eredetű és rekombináns készítmények adhatók.

VIII-as faktor készítmények:

- VIII-as faktor koncentrátumok plazmából
- Rekombináns humán VIII-as faktor (1.-4. generációs)
- Hosszabb ideig tartó rekombináns VIII-as faktor
 - Efanezoktokog alfa (VIII-VWF fúziós faktor)
 - VIII-Fc fúziós faktor
 - PEG-ilált VIII-as faktor
 - Single chain VIII-as faktor
- Rekombináns sertés VIII. faktor

Emicizumab

Az **International Society on Thrombosis and Haemostasis** 2024-ben megjelent irányelve a súlyos és közepesen súlyos, inhibitor nélküli hemofília A-ban szenvedő egyének esetében a vérzéses események epizodikus kezelésével szemben a profilaxist ajánlja (erős ajánlás, közepes szintű bizonyítékok alapján).

A profilaxist emicizumabbal, vagy FVIII koncentrátumokkal javasolják (feltételes ajánlás, nagyon alacsony szintű bizonyítékok alapján).

FVIII koncentrátumok esetén a standard vagy meghosszabbított felezési idejű rekombináns FVIII koncentrátumokkal történő profilaxist javasolják (feltételes ajánlás, nagyon alacsony szintű bizonyítékok alapján).

A **WFH (World Federation of Hemophilia) hemofília kezelésére vonatkozó irányelvének 3. kiadásában (2020)** a súlyos fenotípusú hemofília A vagy B betegek, különösen a gyermekek esetében a WFH a rendszeres hosszú távú profilaxist ajánlja standard ellátásként, véralvadási faktor koncentrátumokkal, vagy standard (SHL) vagy meghosszabbított felezési idejű (EHL) készítményekkel. A WFH szerint az efanezoktokog alfa egy UHL, vagyis ultra hosszú felezési idejű faktorpótló, amelynek 3-4-szer hosszabb a felezési ideje a többi FVIII véralvadási faktorpótló terápiához képest, és ezért ritkább kezelést igényel.

NBDF (National Bleeding Disorders Foundation) 267-as MASAC szakértői bizottság által készített dokumentuma (2022) az inhibitor nélküli hemofília A vagy B profilaxisára tartalmaz ajánlásokat. A Bizottság szintén felhívja a figyelmet a korai életkorban elkezdett profilaxis fontosságára, amelynek lehetőségei közé tartozik a plazmából származó vagy rekombináns standard felezési idejű faktorról, a meghosszabbított felezési idejű faktorról történő terápia és a nem faktorpótló terápiák.

2.2.A kérelmezett indikációban hazai körülmények között elérhető kezelések

A kérelmezett indikációban jelenleg FVIII faktorpótló terápiák támogatottak, különkeretes finanszírozási formában. Azoknak a betegek számára, akiknél VIII-as faktor elleni inhibitorok vannak jelen, az emicizumab is rendelkezésre áll támogatottan.

A jelenleg közbeszerzett készítmények a következők:

- Rekombináns technológiával humán sejtvonalon előállított természetes, kémiai módosítás nélküli 4. generációs B-domain rövidített VIII. faktor koncentrátum
- aktivált prothrombin komplex koncentrátum (VIII. koagulációs faktor inhibitor „bypassing” aktivitású készítmény)
- Teljes molekulaméretű VIII faktor, PK doz.
- B-domain rövidített, tirozinszulfatált VIII. fakt.
- 3 - 4. gen. elnyújtott felezési idejű VIII. faktor knc
- plazmából előállított FVIII készítmény
- von Willebrand faktor tartalmú nagy tisztaságú, plazma eredetű VIII. faktor koncentrátum, amely mérsékelt súlyosságú von Willebrand betegség, haemophilia A, immuntolerancia indukciós kezelésére alkalmas plazmából előállított FVIII készítmény

3. Komparátorválasztás

A Kérelmező a költség-hasznossági elemzésében (CUA) rekombináns FVIII (SHL és EHL) készítményeket választotta komparátor terápiának a hemofília A profilaxisára. Kiegészítő elemzést végeztek emicizumab (Hemlibra) komparátorral.

A Kérelmező komparátor-választása a szakmai irányelvek, a hazai támogatási rend és klinikai gyakorlat figyelembevételével megfelelő.

A TéF megjegyzi, hogy a Kérelmező a költséghatékonyság vizsgálatát az alábbi kiválasztott készítményekkel szemben végezte: Advate (octocog alfa), Adynovi (alfa-rurioktokog pegol), Elocta (efmorococogum alfa) és az Esperoct (alfa-turoktokog-pegol).

Az Adynovi és Esperoct készítményeket csak 12 év fölött lehet adni.

4. A kérelmezett technológia orvosszakmai bizonyítékainak bemutatása és bizonyítékainak értékelése

4.1. Relatív hatásosság

Az efanezoktokog alfa hatásosságát és biztonságosságát az XTEND-1 és XTEND-Kids klinikai vizsgálatokban értékelték. Továbbá a Kérelmező által bemutatásra került egy MAIC típusú indirekt összehasonlítás, amely az efanezoktokog alfát vetette össze az SHL és EHL terápiákkal.

XTEND-1

Ez a nyílt, fázis III-as vizsgálat a 12 éves vagy idősebb, súlyos hemofília A-ban szenvedő betegek bevonásával történt. Az A csoportban a betegek 52 héten keresztül hetente egyszer kaptak profilaxist efanezoktokog alfával (50 NE/testsúlykilogramm). A B csoportban a betegek 26 héten át igény szerint efanezoktokog alfa-kezelésben részesültek, majd 26 héten át hetente egyszeri profilaxisban részesültek efanezoktokog alfa-kezeléssel. Az elsődleges végpont az A csoportban (n=133) az átlagos éves vérzési ráta volt; a kulcs másodlagos végpont a profilaxis alatti éves vérzési ráta és a vizsgálat előtti VIII-as faktor-profilaxis alatti vérzési ráta összehasonlítása volt az A csoport azon alcsoportjában, akik részt vettek egy obszervációs prestudy-ban (n=78).

Az A csoportban (133 beteg) a medián éves vérzésszám 0 volt (interkvartilis tartomány, 0-1,04), és a becsült átlagos éves vérzésráta 0,71 (95%-os konfidenciaintervallum [CI], 0,52-0,97).

Az obszervációs prestudyban is résztvevők körében (n=78) átlagos évesített vérzési ráta 2,96-ról (95%-os CI, 2,00-4,37) 0,69-re (95%-os CI, 0,43-1,11) csökkent, ami a vizsgálat előtti VIII-as faktor-profilaxisához képest előnyt mutatott ($P<0,001$).

A B csoportba összesen 26 beteget vontak be. A teljes populációban szinte minden vérzéses epizód (97%) megszűnt az efanezoktokog alfa egy injekciójával. Az efanezoktokog alfával végzett heti profilaxis a hét nagy részében 40 NE/deciliter feletti átlagos VIII-as faktor aktivitást biztosított, a 7. napon pedig 15 NE/deciliter átlagot. Az 52 héten át tartó efanezoktokog alfa profilaxis (A csoport) javította a fizikai egészséget ($P<0,001$), a fájdalom intenzitását ($P=0,03$) és az ízületek egészségét ($P=0,01$). A teljes vizsgálati populációban az efanezoktokog alfa elfogadható mellékhatásprofilal rendelkezett, és a VIII-as faktor gátlóinak kialakulását nem észlelték.

XTEND-Kids

Az XTEND-Kids egy fázis III-as, nyílt, egykarú, nemzetközi vizsgálat volt, a résztvevők korábban kezelt, súlyos A hemofiliában szenvedő 12 évnél fiatalabb betegek voltak.

A betegek 52 héten át hetente egyszeri efanezoktokog alfa (50 NE/testsúlykilogramm) profilaxisban részesültek. Az elsődleges végpont a VIII-as faktor gátlók (a VIII-as faktorról szembeni semlegesítő antitestek) előfordulása volt. A másodlagos végpontok közé tartozott a

kezelt vérzéses epizódok évesített aránya, a vérzés kezelése, a biztonságosság és a farmakokinetika.

Összesen 74 beteget vontak be a vizsgálatba (38 <6 éves és 36 6-12 év közötti korú). Nem alakult ki VIII-as faktor inhibitor.

A kezelt vérzéses epizódok medián évesített aránya 0,00 volt (interkvartilis tartomány, 0,00-1,02), és a kezelt vérzéses epizódok modellalapú becsült átlagos évesített aránya 0,89 (95% CI, 0,56-1,42) volt az összes bevont beteg körében. A per protokoll szerint kezelt 73 betegnél a medián és a modellalapú éves átlagos vérzési arány 0,00 (interkvartilis tartomány, 0,00-1,02), illetve 0,61 (95%-os konfidenciaintervallum, 0,42-0,90) volt.

A legtöbb nemkívánatos esemény nem volt súlyos. Nem jelentettek olyan súlyos nemkívánatos eseményt, amelyet a vizsgáló úgy értékel, hogy az efanezoktokog alféval állt volna összefüggésben.

4.2. Az egészség-gazdaságtani elemzésben felhasznált klinikai bizonyítékok

A kérelemben szereplő költség-hasznossági elemzés (CUA) alapját a 12 éves és idősebb alpopulációban az XTEND-1 kontrollkar nélküli klinikai vizsgálatokból származó eredmények képezik. A relatív hatásossági adatok igazolásához a pivotális vizsgálat eredményei alapján egy Klamroth és munkatársai által készített indirekt összevetést (MAIC) használt fel, továbbá egyéb publikációkat (Benson et al., 2021; Chowdary et al., 2020; Velsing Groth et al., 2016).

A modellben alkalmazott életminőségre vonatkozó adatok az XTEND-1, A-LONG és ASPIRE klinikai vizsgálatokból és szekunder forrásból származnak.

A 12 évesnél fiatalabb betegkörben nem készült költséghatékonysági elemzés, így nem használták fel az XTEND-Kids eredményeit.

5. Egészség-gazdaságtani bizonyítékok összefoglalása

5.1. Egészség-gazdaságtani elemzés célja és típusa

A társadalombiztosítási támogatási kérelemhez a 12 éves és annál idősebb betegkörben egy költség-hasznossági típusú teljeskörű gazdasági elemzés készült, melyben az efanezoktokog-alfa (EFA) terápia alapesetben a hazánkban rutinszerűen finanszírozott 4 hatóanyagból – alfa-turoktokog-pegol (ESP), alfa-rurioktokog pegol (ADY), oktokog alfa (ADV), efmoroktokog-alfa (ELO) – álló profilaktikus VIII-as faktorpótló terápiákkal kerül összevetésre.

A gazdasági elemzés alapja egy globális egészség-gazdaságtani modell hazai körülményekre adaptált változata. Az elemzés 6 hónapos ciklusokban 38 éves időtávval, tehát a betegkör 35,4 éves átlagéletkorát is figyelembe véve élethosszig tartóan számol. A gazdasági elemzést a forgalomba hozatali engedélyben is szereplő, XTEND-1 vizsgálat mintáját alapul véve készítették el.

A 12 év alatti betegkörben egy évre számított átlagos terápiás költségek kerültek meghatározásra az XTEND-Kids vizsgálat bemeneti adatai alapján, teljeskörű egészség-gazdaságtani elemzés ebben az alcsoportban nem készült.

5.2. Egészség-gazdaságtani elemzés bemeneti paraméterei és feltételezései

Az elemzésben vizsgált eljárások hatásossági adatainak bemeneti adatai XTEND-1 vizsgálatokból és indirekt összevetésből, a hasznossági adatok az előbbi, az engedélyezés

alapjául is szolgáló vizsgálatból és szekunder forrásokból származnak. A további gyógyszeres kezelés költségei hazai adatforrásokból (HBCS Kódkönyv, OENO törzs) származnak.

5.3. Egészség-gazdaságtani elemzés eredménye és értékelése

A Kérelmező által a 12 éves és idősebb korcsoportban készített egészség-gazdaságtani elemzés az efanezoktokog alfa terápia esetében többlet-egészségnyereséget (XXX QALY) és alacsonyabb várható költségeket (XXX Ft) számszerűsít a komparátorkosárral szemben az alapesetben bemutatott 38 éves időtávon. Ennek megfelelően az efanezoktokog-alfa terápia alapesetben számított „blended”, azaz az alcsoporthoz előfordulási arányaival súlyozott ICER-e (XXX Ft/QALY) alacsonyabb, mint a kérelmezett készítmény esetén releváns, egy főre jutó GDP ritka betegség esetén meghatározott küszöbértéke (23 796 292 Ft/QALY).

A Technológia-értékelő Főosztály felhívja a figyelmet, hogy a FVIII-as terápia piaci részesedésének meghatározása a TEF adatkérésének eredményeképp kapott betegszámok alapján nem megfelelően került súlyozásra.

A 12 évnél fiatalabb betegkörben teljeskörű egészség-gazdaságtani elemzés nem készült, a terápia összehasonlíthatósága ebben az alcsoporthoz korlátozott.

6. Betegszám és költségvetési hatás nagysága

6.1. Becsült betegszám

A Kérelmező a betegszám becslésére egy epidemiológiai adatokkal támogatott finanszírozási adatbázis-elemzést alkalmaz. Ez alapján a teljes kezelt betegszám az efanezoktokog alfa terápia esetében az 1., 2., 3., és 4. év végére a 12 évnél fiatalabb betegkörben XX-XX főre, míg a 12 éves és annál idősebb betegkörben XX-XX főre tehető.

6.2. Az összehasonlításra kerülő terápia költségvetése

A költségvetési hatás elemzésben az Altuvoc 250 NE listaáron számított kiszerelésenkénti bruttó nagykereskedelmi ára XXX Ft.

Éves költsége a 12 éves annál idősebb betegkörben XXX Ft (70 kg átlagos testsúly), 12 év alatti populációban XXX Ft (26,6 kg).

A komparátor terápia éves költségei 12 éves és idősebb populációban: Advate XXX Ft, Adynovi: XXX Ft, Esperoct: XXX Ft és Elocta: XXX Ft.

6.3. Költségvetési hatás

A Kérelmező által várt, támogatott áron számított, az Altuvoc terápia összegzett bruttó költségvetési hatása a két betegcsoportra XXX – XXX – XXX – XXX Ft a befogadói döntést követő 1., 2., 3., 4. évben, az Altuvoc **100%-os piaci részesedését feltételezve**. A VIII faktorpótló terápia költségeit is figyelembe vevő nettó költségvetési hatás XXX Ft – XXX Ft – XXX Ft és XXX Ft.

7. A benyújtott elemzés limitációi

7.1. Orvosszakmai limitációk

Az XTEND-1 és az XTEND-Kids klinikai vizsgálatok nyílt jellege és a randomizáció hiánya miatt jelentős torzítási kockázattal terhelt.

A relatív hatásosságra vonatkozó adatok részben indirekt összehasonlításból származnak, részben intrapatient historikus kontrollból.

Az XTEND-Kids vizsgálat egykarú volt, így nem alkalmas relatív hatásosság megítélésére.

A XTEND-1 és az XTEND-Kids vizsgálatokban nem vehettek részt VIII-as faktorra inhibitort kifejező betegek, így inhibitoros populációra nem áll rendelkezésre evidencia.

7.2. Egészség-gazdaságtani limitációk

Az egészség-gazdaságtani elemzés legfontosabb limitációja, hogy a relatív hatásossághoz alkalmazott heterogén forrásokból származó, faktoraktivitási szint szerinti ABR kalibráció módszertana, valamint a vérzéses és vérzésmentes betegek arányának módosítása a modellbeállítási opciók szerint. Az egészség-gazdaságtani elemzésben a heterogén hatásossági inputok egy nem számszerűsíthető, az inkrementális költségeket, és az egészségnyereséget befolyásoló bizonytalansági tényező, hatása vélhetően jelentős.

Az egészség-gazdaságtani elemzés további limitációja, hogy a 12 éves és idősebb betegcsoportban alkalmazott rutin FVIII profilaxis megoszlása szerint súlyozott ICER. A Technológia-Értékelő Főosztály adatkérésének eredményei alapján a jelenlegi piaci megoszlás eltér a Kérelmező által megadott súlyoktól. Az egészség-gazdaságtani elemzésben a hibás forgalmi súlyok egy számszerűsíthető, de teljeskörű nem mutatja be a terápiás területet. Az azonosított limitáció az inkrementális költségeket, és az egészségnyereséget befolyásoló bizonytalansági tényező, melynek hatása vélhetően jelentős.

Az egészség-gazdaságtani elemzés további limitációja, hogy a modell bemeneti paraméteriben nem elérhetőek a 12 év alatti populációs eredmények. A hatásossági adatok az XTEND-Kids vizsgálat szerint közel azonosak a XTEND-1 hatásossági eredményeivel, azonban a betegségfolyás különbségeiről, valamint az alkalmazott hatásossági eredményekről nem kapható teljeskörű kép. Az egészség-gazdaságtani elemzésben a 12 év alatti betegek figyelmen kívül hagyása egy nem számszerűsíthető, az inkrementális költségeket, és az egészségnyereséget is befolyásoló bizonytalansági tényező, hatása az egészségnyereség eredményeit tekintve jelentős.

Az egészség-gazdaságtani elemzés további limitációja, hogy a kiindulási populációban nem különböztették meg a korábban kezelt betegek (PTP) és korábban nem kezelt betegek (PUP) szerinti alcsoportokat. Az egészség-gazdaságtani elemzésben az alcsoportok megkülönböztetésének hiánya egy nem számszerűsíthető, az inkrementális költségeket, és az egészségnyereséget befolyásoló bizonytalansági tényező, hatása vélhetően jelentős.

A beadványban bemutatott hasznossági értékek nem tesznek különbséget a terápiák között, ez alapján az alkalmazásból eredő és a hatásosságbeli (pl. vérzési epizódok kimenetele) életminőségi eltérések nem érzékeltesek az SHL és EHL készítmények között. Az egészség-gazdaságtani elemzésben az azonos hasznossági inputok bemeneti adatok hiányában nem számszerűsíthető, az egészségnyereséget befolyásoló bizonytalansági tényező, melynek hatása vélhetően nem jelentős.

A TÉF megjegyzi, hogy több VIII-as faktorkészítményre közbeszerzés van érvényben, ezek alapján a költségvetési hatás elemzésben kalkulált ár eltérhet a keretszerződésben rögzített tényleges beszerzési ártól.

8. Nemzetközi kitekintés

A **francia HAS** a 2024. december 5-én kelt állásfoglalásában az efanezoktokog alfa támogatásáról kedvező véleményt fogalmazott meg az alkalmazási előírásban szereplő terápiás javallat tekintetében. A hemofília A betegségben való előnye jelentős, viszont az egyéb rendelkezésre álló FVIII-koncentrátumokkal összehasonlítva klinikai többletelőnye nincs (ASMR V).

A **kanadai CDA-AMC** értékelésre még folyamatban van.

A **brit NICE** értékelése még folyamatban van. A publikálás várható időpontja 2025.03.26.

9. Konklúzió

A klinikai bizonyítékokon alapuló többletelőny mértékének TéF által javasolt besorolása szerint az efanezoktokog alfa terápia nyújtotta a klinikai többletelőny *meglelte* valószínűsíthető, mértéke nem meghatározható az FVIII faktorterápia komparátorhoz viszonyítva, a klinikailag és a beteg számára egyaránt relevánsnak tekinthető éves vérzésráta (ABR; bármely [kezelt és nem kezelt], izületi, spontán) végponton. Ezt alacsony evidencia szintű, indirekt összehasonlításból származó orvosszakmai bizonyítékok támasztják alá.

A kérelmezett indikációban támogatott terápiás alternatívák elérhetőek.

A rendelkezésre álló egészség-gazdaságtani bizonyítékok alapján az **efanezoktokog alfa** alkalmazásával megtakarítás mellett a többlet-egészségnyereség biztosított a blended komparátoroknak választott VIII-as faktorpótló terápiákkal szemben (ADV, ADY, ELO, ESP). A klinikai többletelőnyről szóló konklúzió alapján az elemzéstípus választása **megalapozottnak** tekinthető.

A benyújtott elemzés alapján a komparátokkal szemben a technológia hazai körülmények között a kérelmezett listaáron költséghatékony. Ahhoz, hogy a költség-hatékonyság teljesüljön minden megjelölt komparátorhoz a Kérelmezett termék termelő árának XXX%-os csökkentése szükséges. A benyújtott elemzés alapján Altuvocot társadalombiztosítási támogatásba vétele egyértelműen megtakarítást realizálhat a finanszírozó részére, ugyanakkor a piaci részesedésre vonatkozó adatok megfelelőségét az adatkérés eredménye nem támasztotta alá.

Az emicizumab lehetséges komparátorterápia befogadási eljárása folyamatban van a kérelmezett indikációban. Új komparátor támogatásba vétele esetén a terápia HTA szempontból történő megítéléséhez és így a társadalombiztosításba történő befogadásához a Kérelmező részéről további egészség-gazdaságtani elemzés elkészítése lehet szükséges kiegészítve a jelen terápiák evidenciáinak felülvizsgálatával.

Jelen beadvány következtetéseinek döntéshozatali célú felhasználhatósága korlátozott az alábbi okok miatt:

- relatív hatásossági adatok bizonytalanságai 12 éves és idősebb populációban
- 12 év alatti betegkör relatív hatásosságának jellemzése költséghatékonysági szempontból
- piaci megoszlás jellemzése betegcsoportonként
- PUP és PTP betegcsoportok jellemzése

A technológiaértékelés felülvizsgálata javasolt új evidenciák, vizsgálati eredmények (pl.: XTEND-ed) megjelenésekor.