



OGYÉI

Országos Gyógyszerészeti
és Élelmezés-egészségügyi Intézet

1051 Budapest, Zrínyi utca 3.
Levélcím: 1372 Postafiók 450.
Tel: (1) 8869-300, Fax: (1) 8869-460
E-mail: ogyei@ogyei.gov.hu
Web: www.ogyei.gov.hu

NYILVÁNOS ÖSSZEFOGLALÓ - Technológia-értékelő Főosztály

Technológia neve	Jivi 500 NE por és oldószer oldatos injekcióhoz		
Hatóanyag	alfa-damoktokog-pegol		
Alkalmazási előírásban szereplő terápiás javallat	Vérzés kezelése és prophylaxisa A típusú haemophiliában (a VIII-as faktor congenitalis hiánya) szenvedő, korábban már kezelt 12 éves és idősebb betegeknél.		
Mire vonatkozóan érkezett a kérelem?	új indikációra új hatóanyagra		
Kérelmezett támogatási kategória	közbeszerzés útján beszerzett gyógyszerek esetén, különkeret 32/2004. (IV.26.) ESZCSM rendelet 4. számú mellékletének kiegészítésével az alábbi sorral: „Rekombináns technológiával előállított, elnyújtott felezési idejű, 60 kDa molekulatömegű (két 30 kDa molekulatömegű PEG) molekularésszel helyspecifikusan pegilált, B-domén-deletált, VIII-as faktor koncentrátum”		
Kérelmezett indikáció	„Vérzés kezelése és prophylaxisa A típusú haemophiliában (a VIII-as faktor congenitalis hiánya) szenvedő, korábban már kezelt 12 éves és idősebb betegeknél rekombináns technológiával előállított, elnyújtott felezési idejű, 60 kDa molekulatömegű (két 30 kDa molekulatömegű PEG) molekularésszel helyspecifikusan pegilált, B-domén-deletált, VIII-as faktor koncentrátummal.”		
Terápiás szükséglet	A haemophilia A betegség nem gyógyítható, a vérzéses események és azok következményeinek elkerülése a terápia célja. Jelenleg Magyarországon társadalombiztosítási támogatással elérhetőek humán plazmakészítmények és rekombináns készítmények egyaránt.		
Tudományos bizonyítékok	A PROTECT VIII (multicentrikus, részben randomizált, nyílt elrendezésű, 36 hetes, biztonságossági és hatásossági fázis II/III) vizsgálat jelenleg elérhető eredményei alapján az alfa-damoktokog-pegol hatásosan alkalmazható a súlyos haemophilia A-ban szenvedő ≥ 12 éves betegek vérzéses eseményeinek kezelésére, illetve annak megelőzésére, akár major műtéti beavatkozások során. A vizsgálat nem tartalmaz aktív kontroll karmat. Az eredmények alapján a profilaktikusan alkalmazott kezelés hosszabb időközönként adagolva is hatásosan előzi meg a vérzés kialakulását. A vizsgálat időtartama alatt a haemophilia terápiájára jellemző általános mellékhatásoktól eltérő nemkívánatos eseményeket nem tapasztaltak.		
Terápiás hatás jellege	Az alfa-damoktokog-pegol hatásossága és biztonságossága a PROTECT-VIII klinikai vizsgálat alapján igazolódott. A készítmény hatásosnak bizonyult a vérzések és a major műtéti beavatkozások során. A vizsgálat hosszútávú eredményei alapján a hatásosság fennmaradt. A PEG-elleni valamint a FVIII-elleni antitestek kialakulása nem bizonyult jelentősnek a vizsgálat során.		
A Kérelmező által választott komparátor	alfa-rurioktokog-pegol; alfa-efmoroktokog		
Relatív hatásosság, biztonságosság	A készítménnyel és a komparátoraival szemben egy indirekt összehasonlítás eredményei állnak rendelkezésre, amely alapján az alfa-damoktokog-pegol hatásossága nem marad el az alfa-efmoroktokog és az alfa-rurioktokog-pegol hatóanyagokétól. Direkt összevetés során az alfa-efmoroktokog hatóanyag egyszeri dózisának keresztezett elrendezésű ismétlésével hasonlították össze a farmakokinetikai paramétereket. A tanulmány alapján a készítmények egyszeri dózisának a féléletideje, illetve a FVIII:C-ra gyakorolt hatása kedvezőbb az alfa-damoktokog-pegol hatóanyagnak.		
TéF konklúzió Többlet-egészségnyereség (Értékelő: ABR noninferioritás kisebb felhasználás)	<u>Bizonyított</u>	Nem kellően alátámasztott	Nincs érdembeli többlet-egészségnyereség, vagy nincs bizonyíték

**OGYÉI**Országos Gyógyszerészeti
és Élelmezés-egészségügyi Intézet

1051 Budapest, Zrínyi utca 3.

Levélcím: 1372 Postafiók 450.

Tel: (1) 8869-300, Fax: (1) 8869-460

E-mail: ogyei@ogyei.gov.hu

Web: www.ogyei.gov.hu

NYILVÁNOS ÖSSZEFOGLALÓ - Technológia-értékelő Főosztály

faktormennyiség mellett)								
A Kérelmező által készített gazdasági elemzés típusa	CCA	CMA	CEA	CUA	Irányelvnek nem megfelelő / Nem teljeskörű gazdasági elemzés készült			Nem készült
TéF konklúzió Költség-hatékonyság	A beadvány leírása alapján, a Jivi készítmény alkalmazásával egy átlagos beteg élethosszig tartó kezelése során „kevesebb faktormennyiség kerül felhasználásra”. A kalkulált terápiás költségeket megvizsgálva, azonban megállapítható, hogy a Jivi készítmény csak az Elocta készítménnyel szemben költségminimalizáló.							
A Kérelmező által becsült betegszám (aktív kar)	1. év: 6 fő			2. év: 8 fő			3. év: 10 fő 4. év: 12 fő 5. év: 14 fő	
TéF konklúzió Költségvetési hatás	megtakarító			semleges			<u>többletkiadást eredményez</u>	
TéF konklúzió HTA Összességében	Az alfa-damoktokog-pegol hatóanyag hatásosan csökkenti a vérzéses események kockázatát súlyos haemophilia A-ban szenvedő betegek profilaktikus kezelése során az on demand alkalmazással szemben. Nagy betegszámon végzett fázis III, az egyes terápiákat direkt összehasonlító klinikai vizsgálatokból származó eredmények jelenleg nem állnak rendelkezésre. Jelenleg befogadott terápiák között hasonló (pegilációval elnyújtott felezési idejű) kezelés elérhető. A Technológia-értékelő Főosztály véleménye szerint a rendelkezésre álló epidemiológiai és forgalmi adatok alapján a kérelmezői betegszámbecslés elfogadható. A beadvány leírása alapján, a Jivi készítmény alkalmazásával egy átlagos beteg élethosszig tartó kezelése során „kevesebb faktormennyiség kerül felhasználásra”. A kalkulált terápiás költségeket megvizsgálva megállapítható, hogy a Jivi készítmény csak az Elocta készítménnyel szemben költségminimalizáló. A haemophilia kezelésére szolgáló készítmények beszerzése közbeszerzés útján történik. Az éves keretmegállapodásokat a NEAK Nemzetközi Egységekre (NE) köti.							