

Nyilvános összefoglaló

1. Kérelem tárgya

A kérelem a **Megestrol HealthCare Med 125 mg/ml** **belsőleges szuszpenzió** készítmény társadalombiztosítási támogatásba történő felvételére irányul.

A kérelmező a nevezett termék **kiemelt, indikációhoz kötött (Eü100)** támogatását kéri a következő indikációban:

Eü100 8/p. pont

- „*Malignus folyamatokhoz társuló anorexia-cachexia syndroma, az alapbetegség cytostatikus illetve sugaras kezelése alatt vagy ennek előkészítése céljából.*
- *Malignus folyamatokhoz társuló anorexia-cachexia syndroma, ha a beteg eredeti testtömegének 10%-át 3 hónap alatt elvesztette.*
- *Malignus folyamatokhoz társuló anorexia-cachexia syndroma, ha a beteg más szerekkel 3 hónapig végzett kezelése nem eredményezte a testtömeg szükséges növekedését.*”

A készítmény hatóanyaga, az **L02AB01** ATC-kódú **megestrol acetate**, mely **jelenleg támogatott** a kérelmezett Eü100 8/p. ponton, valamint a következő kiemelt, indikációhoz kötött (Eü100 8/o) ponton:

Eü100 8/o. pont

- „*Emlő rosszindulatú daganat daganatellenes oki terápiája az adott készítmény alkalmazási előírásában szereplő javallatokban.*
- *Endometrium rosszindulatú daganat daganatellenes oki terápiája az adott készítmény alkalmazási előírásában szereplő javallatokban.*”

A **Megestrol HealthCare Med 125 mg/ml** **belsőleges szuszpenzió** készítmény alkalmazási előírásában szereplő terápiás javallat a következő:

- „*A Megestrol HealthCare Med szuszpenzió javallott malignus folyamatokhoz társuló, illetve AIDS miatti anorexia vagy cachexia kezelésére mindkét nemnél.*”

A kérelem PICO struktúráját az 1. táblázat mutatja.

1. táblázat: A kérelmezett indikáció PICO struktúrája

| | Populáció | Beavatkozás | Komparátor | Végpont |
|------------------------------------------------|--------------------------------------------------------------------------------|-----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|--------------------------|
| Kérelmezett indikáció alapján definiált | Malignus folyamatokhoz társuló anorexia-cachexia syndromában szenvedő betegek. | Megesztrol-acetát nanokristályos szuszpenzió Adagolás: Az ajánlott kezdő dózis naponta 625 mg (5 ml/nap, azaz 1 adagolókanálnyi naponta). Adagolási tartomány: 312,5 mg/nap (2,5 ml/nap azaz 1/2 | Megesztrol-acetát tablettá Adagolás: Naponta 320-800 mg (2-5 db tablettá), egyetlen adagban vagy megosztott dózisokban alkalmazva | Testtömeg-változás (≥5%) |

| | Populáció | Beavatkozás | Komparátor | Végpont |
|-------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|---------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-------------------------------------------------------------------------------------------|
| | | adagolókanálnyi naponta) – 625 mg/nap (5 ml/nap, azaz 1 adagolókanálnyi naponta). 5 ml/napnál (1 adagolókanálnál) nagyobb napi dózis nem adható. | Megesztrol-acetát szuszpenzió Adagolás: Anorexia vagy cachexia esetén 400-800 mg/nap. | |
| Orvosszakmai bizonyítékok alapján definiált NCT00637572 Fázis II, randomizált, nyílt elrendezésű | A vizsgálatban olyan 18 és 70 év közötti, HIV-fertőzött beteg vehetett részt, aki a testtömegének 10%-át elvesztette vagy testtömege az ideális tömeg alsó határától 10%-kal kevesebb klinikailag AIDS-hez köthető állapot miatt és képes 3 napon át diétás étrendet tartani. | 575 mg (5 ml) nanokristályos megestrol (115 mg/ml) naponta egyszer 12 héten át | 800 mg (20 ml) micronizált megestrol naponta egyszer 12 héten át | Testtömegnövekedés, antropometriai adatok, energiabevitel és étvágy változás, életminőség |
| Orvosszakmai bizonyítékok alapján definiált Cheng et al. (2025) | A vizsgálatban olyan felnőtt (≥18 év) betegek vehettek részt, akiknél cachexia-anorexia szindrómát diagnosztizáltak, nem volt hormonszenzitív tumoruk, 3 ciklus kezelést teljesítettek és várható élettartamuk 2 hónap vagy több volt. | 625 mg (5 ml) nanokristályos megestrol (125 mg/ml) naponta egyszer 12 héten át | 800 mg megestrol acetat tableta naponta egyszer 12 héten át | Testtömegnövekedés, étvágy változás, életminőség |
| Egészség-gazdaságtani elemzésben szereplő | Malignus folyamatokhoz társuló anorexia-cachexia szindrómában szenvedő betegek. | Megesztrol-acetát nanokristályos szuszpenzió Adagolás: Az ajánlott kezdő dózis naponta 625 mg (5 ml/nap, azaz 1 | Megesztrol-acetát tableta Adagolás: Naponta 320-800 mg (2-5 db tableta), egyetlen adagban vagy megosztott | Testtömeg-változás (≥5%) |

| | Populáció | Beavatkozás | Komparátor | Végpont |
|--|-----------|--------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|---------|
| | | <p>adagolókanálnyi naponta).</p> <p>Adagolási tartomány: 312,5 mg/nap (2,5 ml/nap azaz 1/2 adagolókanálnyi naponta) – 625 mg/nap (5 ml/nap, azaz 1 adagolókanálnyi naponta).</p> <p>5 ml/napnál (1 adagolókanálnál) nagyobb napi dózis nem adható.</p> | <p>dózisokban alkalmazva</p> <p>Megesztrol-acetát szuszpenzió</p> <p>Adagolás:</p> <p>Anorexia vagy cachexia esetén 400-800 mg/nap.</p> | |

Forrás: T&F saját összeállítás a benyújtott dokumentáció alapján

2. A kérelmezett indikációban alkalmazható és elérhető kezelési alternatívák

2.1. A kérelmezett indikációban alkalmazható kezelések

A megjelölt indikációban hazai támogatott finanszírozásban is elérhető megestrol acetate hatóanyagtartalmú készítmények (Cachexi 40 mg/ml, Megace, Megesin, Megestrol Pharmacenter, Megyrina 40 mg/ml) alkalmazhatók különböző gyógyszerformákban (orális szuszpenzió, tableta).

2.2. A kérelmezett indikációban hazai körülmények között elérhető kezelések

A kérelmezett indikációban alkalmazható, valamennyi előző pontban felsorolt megestrol hatóanyagtartalmú készítmény jelenleg támogatott kiemelt, indikációhoz kötött (Eü100) kategóriában.

3. Komparátorválasztás

A Kérelmező költség-minimalizációs elemzésében az azonos hatóanyag-tartalmú készítményeket választotta komparátor terápiának.

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

4. A kérelmezett technológia orvosszakmai bizonyítékainak bemutatása és bizonyítékainak értékelése

4.1. Relatív hatásosság

A Kérelmező a relatív hatásosságra egy, a megestrol két gyógyszerformájának direkt összehasonlító vizsgálat és egy klinikai gyakorlaton alapuló, obszervációs vizsgálat eredményeit mutatta be.

| Bemutatott vizsgálatok | |
|------------------------|---------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| Jellemzőik | <p>Direkt:</p> <p>Fázis II, kétkarú, multicentrumos, randomizált, nyílt elrendezésű vizsgálat.</p> <p>Obszervációs:</p> |

| | Prospektív, többkohorszos, multicentrikus, valós klinikai gyakorlaton alapuló obszervációs vizsgálat. | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | |
|-----------------------------|-------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|------------|----------------|-------------|----------|--------|---------|--------------------|--------|--------|--|--|----------|----------------|--|--|--|--|--|---------|--------------------|------------|----|--------|---------|--------------------|---------|---------|--|-------------|---------|----------------|-------|-------|--|---|---------|
| Vizsgálatok státusza | Befejezett: 2005 (direkt), 2025 (obszervációs) | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | |
| Populáció | Direkt: HIV-fertőzött betegek, akiknek testtömege AIDS-hez köthető állapot miatt csökkent. Obszervációs: Cachexia-anorexia szindrómával diagnosztizált betegek, akiknek nem hormonszenzitív tumoruk volt, 3 ciklus kezelést teljesítettek és várható élettartamuk 2 hónap vagy több volt. | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | |
| Vizsgálati karok | Direkt: <u>Vizsgálati kar:</u> 575 mg (5 ml) nanokristályos megestrol (115 mg/ml), <u>Komparátor kar:</u> 800 mg (20 ml) micronizált megestrol tartalmazó orális szuszpenzió <u>Adagolás:</u> naponta egyszer 12 héten át mindkét karon. Obszervációs: <u>Vizsgálati csoport:</u> 625 mg (5 ml) nanokristályos megestrol (125 mg/ml), <u>Komparátor csoport:</u> 800 mg (20 ml) megestrol tabletta <u>Adagolás:</u> naponta egyszer 12 héten át mindkét csoportban. | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | |
| Végpontok | Direkt: <u>Elsődleges:</u> testtömeg változás, <u>Másodlagos:</u> testösszetétel, antropometriai adatok, energiabevitel és étvágy változás, életminőség. Obszervációs: <u>Elsődleges:</u> testtömeg változás, <u>Másodlagos:</u> étvágy és labor-paraméterek változása, életminőség. | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | |
| Eredmények | Direkt: <table border="1"> <thead> <tr> <th>Végpont</th> <th>Vizsgálati kar</th> <th>Komparátor</th> <th>SD</th> <th>95% CI</th> <th>p-érték</th> </tr> </thead> <tbody> <tr> <td>testtömegnövekedés</td> <td>5,4 kg</td> <td>3,5 kg</td> <td></td> <td></td> <td>p < 0,05</td> </tr> <tr> <td>étvágy javulás</td> <td></td> <td></td> <td></td> <td></td> <td></td> </tr> </tbody> </table> Obszervációs: <table border="1"> <thead> <tr> <th>Végpont</th> <th>Vizsgálati csoport</th> <th>Komparátor</th> <th>HR</th> <th>95% CI</th> <th>p-érték</th> </tr> </thead> <tbody> <tr> <td>testtömegnövekedés</td> <td>4,49 kg</td> <td>2,10 kg</td> <td></td> <td>1,33 – 3,45</td> <td>p<0,001</td> </tr> <tr> <td>étvágy javulás</td> <td>81,6%</td> <td>42,0%</td> <td></td> <td>-</td> <td>p<0,001</td> </tr> </tbody> </table> | Végpont | Vizsgálati kar | Komparátor | SD | 95% CI | p-érték | testtömegnövekedés | 5,4 kg | 3,5 kg | | | p < 0,05 | étvágy javulás | | | | | | Végpont | Vizsgálati csoport | Komparátor | HR | 95% CI | p-érték | testtömegnövekedés | 4,49 kg | 2,10 kg | | 1,33 – 3,45 | p<0,001 | étvágy javulás | 81,6% | 42,0% | | - | p<0,001 |
| Végpont | Vizsgálati kar | Komparátor | SD | 95% CI | p-érték | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | |
| testtömegnövekedés | 5,4 kg | 3,5 kg | | | p < 0,05 | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | |
| étvágy javulás | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | |
| Végpont | Vizsgálati csoport | Komparátor | HR | 95% CI | p-érték | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | |
| testtömegnövekedés | 4,49 kg | 2,10 kg | | 1,33 – 3,45 | p<0,001 | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | |
| étvágy javulás | 81,6% | 42,0% | | - | p<0,001 | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | |
| Biztonságosság | Direkt: A nem kívánatos események előfordulása gyakori (31/32 fő és 30/31 fő) és kiegyensúlyozott volt az egyes vizsgálati karok közt. A leggyakoribb események a vér összetétel, a légzőrendszert, a gyomor-bélrendszert érintő tünetek, a mellékvese-elégtelenség és a pangásos szívelégtelenség voltak. | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | |

| | |
|--------------------|-----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| | <p>Obszervációs:</p> <p>Össességében nem kívánatos esemény a nanokristályos forma mellett 59,2%-ban, tableta mellett 66,0%-ban fordult elő. Súlyos nem kívánatos esemény (grade ≥ 3) előfordulása 18,4% volt nanokristályos forma mellett, míg 20,0% tableta mellett. A nem kívánatos események 5%-os gyakoriság felett mindkét karon főleg a gyomor-bél-rendszert érintették.</p> |
| Életminőség | <p>Direkt:</p> <p>Mindkét vizsgálaton karon javulást mutatott, a karok közti különbség nélkül.</p> <p>Obszervációs:</p> <p>Az életminőségben szignifikáns javulás mutatkozott a vizsgálat végére az étvágy tekintetében mindkét karon, valamint a hányinger és hányás tekintetében a nanokristályos forma mellett.</p> |

Forrás: TEF saját szerkesztés.

A Technológia-Értékelő Főosztály megjegyzi, hogy Kérelmező által választott komparátor azonos hatóanyagtartalmú terápia, mellyel szemben a relatív hatásosságot és biztonságosságot tekintve szignifikáns különbség nem feltételezhető.

4.2. Az egészség-gazdaságtani elemzésben felhasznált klinikai bizonyítékok

Az egészség-gazdaságtani elemzésben a relatív hatásosságot bemutató vizsgálatok adatai kerültek felhasználásra.

5. Egészség-gazdaságtani bizonyítékok összefoglalása

5.1. Egészség-gazdaságtani elemzés célja és típusa

Kérelmező az egészség-gazdaságtani elemzésében a malignus folyamatokhoz társuló anorexia és cachexia szindróma kezelésében alkalmazandó megestrol hatóanyagú Megestrol HealthCare Med 125 mg/ml belsőleg szuszpenzió készítmény költséghatékonyágát vizsgálta egy teljeskörű egészség-gazdaságtani elemzés keretében. A kérelmezői alapeset az egy sikeres kezelés költségének összehasonlítását mutatja be a megestrol terápiák + kiegészítő tápszeres kezelés esetén. Az elemzés 12 hetes időtávra és finanszírozói nézőpontból készült. A gazdasági elemzés kizárólag a direkt kezelési költségek összevetésére fókuszál.

A Kérelmező költség-minimalizációs elemzéstípust jelölt meg, azonban a végső terápiai költségeket eredményességi rátával korrigálta. Figyelembe véve, hogy az eredményességi ráták megfigyelhető adatoknak minősülnek, az elemzés költség-eredményességihez áll legközelebb. Amennyiben a Kérelmező eredményességi előnyt vár termékétől, úgy az érvényes hazai egészség-gazdaságtani elemzések készítéséről szóló irányelv szerint csak Ft/QALY egységben megadott ICER esetén értelmezhető küszöbérték, ezért a költség-eredményességi elemzés nem segíti a döntéshozatalt.

Amennyiben a Kérelmező az elemzésbe vont terápiák között hatásosságbeli különbséget kíván számszerűsíteni, úgy indokolt költséghasznossági elemzés készítése.

5.2. Egészség-gazdaságtani elemzés bemeneti paraméterei és feltételezései

A Kérelmező az egészség-gazdaságtani elemzés során figyelembe vette a direkt gyógyszerköltségeket, valamint a kiegészítő tápszeres kezelés költségét. A kombinált kezelés költségeinek meghatározásához Kérelmező a hazai, finanszírozói adatforrásokból származó, PUPHA törzsben publikált bruttó fogyasztói árakat vette alapul.

A költséghatékonysági elemzésében egy eredményességi rátát jelöl meg a Kérelmező, melynek forrása a Cheng és munkatársai által publikált kutatás. A legalább 5%-os testsúly-növekedés, mint sikerességi végpont elérésének határkölségét ülteti át a kérelmező az elemzésébe, ezen eredményességi ráta mentén számszerűsítve az egy sikeres kezelés költségét mind a kérelmezett (XX%), mind pedig a komparátor (XX%) terápiák vonatkozásában.

A költségvetési hatás elemzésben egy újabb eredményességi rátát alkalmaz a kérelmező, így eltérő kúrahosszal számol a kérelmezett készítmény (X hét) és a komparátor készítmények (X hét) esetében. Ezen időbeli eredményességi ráta forrása a Wanke és társai által publikált kutatás.

A Technológia-értékelő Főosztály felhívja a figyelmet, hogy alternatív számítások elvégzése indokolt, melyek során:

- sem a költséghatékonysági, sem pedig a költségvetési hatás elemzésben nem kerülnek alkalmazásra eredményességi ráták, az alkalmazási előírásoknak megfelelő napi dózis mentén kerülnek bemutatásra a költségek, egységes kúrahossz mellett.
- bemutatásra kerülnek a megesztrol hatóanyag finanszírozására jellemző terápiás alapú, fix összegű támogatási technika okán felmerülő finanszírozói és beteg terhek, továbbá számszerűsítjük annak hatását is, amit a komparátorokhoz viszonyított magasabb árszint eredményezhet a félévenkénti fixesítés során a referencia ár vonatkozásában, figyelembe véve a Kérelmező által várt erősen domináns piaci részesedést.
- a tápszeres kezelések költsége nem kerül elszámolásra, mivel bár szakmai szempontok alapján megalapozott alkalmazásuk feltételezése, gazdasági szempontból az elemzésbe történő bevonásuk nem járul hozzá az egyes terápiák összehasonlításának objektív értékeléséhez.

5.3. Egészség-gazdaságtani elemzés eredménye és értékelése

A kérelmezői alapesetben bemutatott egészség-gazdaságtani elemzés a Megestrol HealthCare Med 125 mg/ml belsőleges szuszpenzió terápia esetében alacsonyabb sikeres kezelési költséget számszerűsít (XXX Ft) a hagyományos megesztrol komparátorokkal szemben (XXX Ft) 12 hetes terápiás időtáv esetén, tápszeres kiegészítő kezeléssel.

A Technológia-értékelő Főosztály felhívja a figyelmet, hogy ugyan a Kérelmező költség-minimalizációs elemzést jelölt meg, a végső terápiás költségeket eredményességi rátával korrigálta. Költség-minimalizációs elemzés lévén az egyes megesztrol készítmények közötti azonos terápiás hatás feltételezése az elemzés típusából adódóan kötelező

Az elemzés megtakarításokat említ, azonban a kérelmezett készítmény támogatásba való befogadása egyértelműen többlet támogatás-kiáramlást jelentene a betegek és a finanszírozó számára.

5.4. Becsült betegszám

A Kérelmező a betegszám becslésére egy finanszírozói adatbázis-elemzést alkalmaz, mely alapján a teljes kezelt betegszám évente 14 000 főre tehető. A kérelmező az 1., 2., 3., és 4. év végére XX%, XX%, XX%, XX%-os várható piaci részesedést feltételez, mely a kezelt betegszám tekintetében XXX, XXX, XXX és XXX főre tehető.

5.5. Az összehasonlításra kerülő terápiák költsége

A kérelmezett Megestrol HealthCare Med 125 mg/ml belsőleges szuszpenzió termelői ára XXX Ft, bruttó fogyasztói ára XXX Ft.

A kérelmező a Cheng kutatásból származó eredményességi ráta mellett XXX Ft megtakarítást számszerűsít 12 hetes időtávon. Szcenárió elemzés keretében a tápszerek költsége nélkül számított megtakarítás XXX Ft ugyanezen 12 hetes időtávon.

A költségvetési hatás elemzés során a Wanke kutatás eredményességi rátája alapján a kérelmezett készítmény befogadása XXX Ft megtakarítást mutat egy kezelés során a nem nanokristályos szuszpenziókkal szemben, míg XXX Ft megtakarítást a tablettás megasztrol készítményekkel szemben, ahol a kúrahossz eltér a kérelmezett (X hét) és a komparátor (X hét) terápiák esetén.

A Technológia-értékelő Főosztály felhívja a figyelmet, hogy eredményességi ráták nélkül, egységes kúrahossz esetén a kérelmezett készítmény terápiás költsége magasabb, mint a már támogatott megasztrol készítmények költsége.

5.6.Költségvetési hatás

A Kérelmező által várt, támogatott áron számított, Megestrol HealthCare Med 125 mg/ml belsőleges szuszpenzió összegzett bruttó költségvetési hatása XXX – XXX – XXX – XXX Ft a tápszerekkel kombinált alkalmazás esetén a befogadói döntést követő 1., 2., 3., 4. évben Ebből tisztán gyógyszerköltség XXX – XXX – XXX és XXX Ft.

A jelenlegi piaci helyzethez viszonyítva a kérelmezett terápia éves nettó költségvetési hatása a Kérelmező elemzése alapján évente XXX – XXX – XXX – XXX millió Ft megtakarítást eredményez, melyből tisztán a gyógyszer általi megtakarítás (tápszeres kezelés nélkül) XXX – XXX – XXX – XXX millió Ft a befogadást követő 4 évben.

Kérelmező nem számol a hatóanyag finanszírozására jellemző terápiás alapú, fix összegű támogatási technikával.

A Technológia-értékelő Főosztály hangsúlyozza, hogy a beadvány megtakarításokat említ, de azok várhatóan nem lesznek realizálhatóak a gyakorlatban a finanszírozó szemszögéből. A komparátorokhoz viszonyított magas árszint és a TFX finanszírozási technika okán, a preferált referencia ársávon kívüli pozícióból adódó csökkentett támogatási összeg a befogadást követően átmenetileg jelentősen megnöveli a betegek térítési díját a kérelmezett készítmény esetén X hetes terápiás időtávon (XXX Ft vs XXX Ft). Ugyanakkor a kérelmezett terápia várható piaci dominanciája miatt a félévenkénti fixesítés eredményeként a referencia ár emelkedése várható a befogadást követő első évben, melynek eredményeként a többlet költség a betegeket már nem fogja terhelni, de a finanszírozó számára többlet támogatás-kiáramlást generál, jelentősen átalakítva a jelenlegi terápiás fix csoport szerkezetét.

6. A benyújtott elemzés limitációi

6.1.Orvosszakmai limitációk

A Kérelmező költségminimalizációs elemzésében az azonos hatóanyagtartalmú készítményekkel szemben klinikai többletelőnyt mutat be, melynek meglétét egy valós klinikai gyakorlaton alapuló obszervációs vizsgálatban megfigyelt testtömeg-növekedés mértékével támasztja alá. A hatályos nemzetközi irányelvek és a szakirodalom a megasztrol okozta testtömeg-növekedést zsírszövet-gyarapodásként írja le. Az irányelvek a fehérjevesztéssel, gyengült funkcionalitással és anyagcserezavarral járó daganatos cachexiában palliatív jelleggel, egyéni megfontolást követően javasolja a készítmény alkalmazását annak súlyos mellékhatásai miatt.

6.2.Egészség-gazdaságtani limitációk

Az eljárással kapcsolatban felmerülő leginkább lényeges egészség-gazdaságtani limitáció, hogy a Kérelmező költség-minimalizációs elemzést jelölt meg, azonban a végső terápiás költségeket eredményességi rátával korrigálta. Az egyes megesztrol készítmények közötti azonos terápiás hatás feltételezése az elemzés típusából adódóan kötelező.

Az egészség-gazdaságtani elemzés további limitációja, hogy a tanulmány nem számol a kérelmezett hatóanyagra vonatkozó terápiás alapú fix csoport szerinti támogatási technikával.

Ahogy a Kérelmező is leírta, a kérelmezett terápia 2021-ben átmeneti időre kontingens engedéllyel forgalomba került. Főosztályunk megállapítja, hogy a Kérelmező által is hivatkozott publikus finanszírozói adatbázis alapján, hasonló statisztikai módszerekkel számolva az egyes készítmények historikus kúrahosszát tekintve több készítmény is hasonló vagy rövidebb kúrahosszal került alkalmazásra a klinikai gyakorlatban, mint a kérelmezett készítmény Kérelmező által várt kúrahossza. Fentiek alapján a költségvetési hatás elemzésben Főosztályunk nem tudja elfogadni a Kérelmezői eredményességi ráta alkalmazását.

7. Nemzetközi kitekintés

A kérelmezett indikációban csupán a francia HAS Technológia-Értékelő testület nyilvánosan elérhető adatbázisában található egy megestrol acetat hatóanyagtartalmú készítmény, a Megace 160 mg tableta, mely társadalombiztosítási támogatásban megújítva szerepel.

8. Konklúzió

A kérelmezett készítmény nem tekinthető hiánypótlónak.

A Kérelmező költség-minimalizációs elemzés keretében vetette össze a nanokristályos megestrol-acetát + tápszerezes kezelést az egyéb nem nanokristályos megestrol-acetát + tápszerezes kezelések kombinációival. A költség-minimalizáció módszertana nem kellően alátámasztott. A tanulmányból levont következtetéseket nem támasztották egyértelműen alá a tanulmány eredményei, adatai. A benyújtott költség-minimalizációs elemzés megtakarításokat említ, de azok várhatóan nem lesznek realizálhatók a finanszírozó szempontjából.

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

- A vizsgált készítmény kizárólag a kérelmezői eredményességi ráták alkalmazásával bizonyítja költség-minimalizáló hatását, azonban a választott elemzési módszertan alapján csak jelentős termelői árcsökkenés mellett igazolható a megtakarító hatás.
- A befogadás már az első évben erőteljesen befolyásolná a hatóanyag-piacon érvényben lévő finanszírozási struktúrát, a jelenlegi fix csoport referencia árszintjét.