



Technológia neve	Refixia 500 NE por és oldószer oldatos injekcióhoz, 1x					
Hatóanyag	béta-nonakog-pegol					
Alkalmazási előírásban szereplő terápiás javallat	<i>B típusú hemofiliában (IX-es faktor congenitalis hiánya) szenvedő 12 éves és annál idősebb betegek vérzésének kezelésére és megelőzésére.</i>					
Mire vonatkozóan érkezett a kérelem?	új hatóanyagra					
Kérelmezett támogatási kategória	közbeszerzés útján beszerzett gyógyszerek esetén különkeretes gyógyszerek					
Kérelmezett indikáció	új hatóanyagra					
Terápiás szükséglet	Jelenleg több humán és rekombináns IX-es faktor tartalmú készítmény elérhető közbeszerzés útján.					
Tudományos bizonyítékok	A béta-nonakog-pegol hatóanyag hatásosságát és biztonságosságát a paradigm-program keretében értékelték haemophilia B-ben szenvedő betegek bevonásával.					
Terápiás hatás jellege	A terápia nem kuratív. A béta-nonakog-alfa hatóanyag I fázis I és 4 fázis III vizsgálat eredményei alapján hatásosan és biztonságosan csökkentette a vérzéses események kockázatát az előzetesen már kezelésben részesült haemophilia B-ben szenvedő betegek kezelése során. Az előzetes kezelésben nem részesült betegek bevonásával végzett paradigm 6 jelenleg is folyamatban van. A készítmény törzskönyvezéséhez a paradigm 1, fázis I és a PARADIGM 2-5-ig fázis III klinikai vizsgálatok eredményeit használták fel. A pegilációval módosított hatóanyag hosszú távú biztonságosságát további vizsgálatokkal szükséges igazolni.					
A Kérelmező által választott komparátor	eftrenonakog-alfa					
Relatív hatásosság, biztonságosság	Az eftrenonakog-alfa hatóanyaggal szemben, nagy betegszámon végzett direkt összehasonlító, fázis III klinikai vizsgálatból származó eredmények nem állnak rendelkezésre. A paradigm 7 multicentrikus, randomizált, nyílt, keresztezett elrendezésű, fázis I klinikai vizsgálat, célja a két hatóanyag farmakokinetikai paramétereinek összevetése volt. A vizsgálatba 15, előzetesen legalább 150 expozíciós napon keresztül, nem hosszú felezési idejű szubsztitúciós kezelésben részesült beteget (átlag életkor 39,7 év) válogattak be. Mindkét készítmény biztonságosan alkalmazhatónak bizonyult, súlyos mellékhatást és inhibitor képződést nem tapasztaltak. A kialakult mellékhatások egyikét sem hozták összefüggésbe a kezelésekkkel (fáradtság, fejfájás a béta-nonakog-pegol és enyhe nasopharyngitis, bal könyök fájdalma az eftrenonakog alfa kezelés esetén. A vizsgálat alapján a béta-nonakog-pegol hatóanyag farmakokinetikai tulajdonságai kedvezőbbek, mint az eftrenonakog alfa hatóanyagé. A vizsgálat nem értékelte az éves vérzési rátában bekövetkező változást. Mindkét hatóanyag biztonságosan alkalmazhatónak bizonyult.					
TéF konklúzió						
Többlet-egészségnyereség	<u>Bizonyított</u>			Nem kellően alátámasztott		Nincs érdembeli többlet-egészségnyereség, vagy nincs bizonyíték
A Kérelmező által készített gazdasági elemzés típusa	CCA	CMA	CEA	<u>CUA</u>	Irányelvnek nem megfelelő / Nem teljeskörű gazdasági elemzés készült	Nem készült
TéF konklúzió						
Költség-hatékonyság	A béta-nonakog-pegol terápia az eftrenonakog alfa terápiával szemben alacsonyabb költség mellett magasabb hasznosságot biztosít.					



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

A Kérelmező által becsült betegszám (aktív kar)	1. év: 8 fő	2. év: 9 fő	3. év: 10 fő
TéF konklúzió Költségvetési hatás	megtakarító	semleges	többletkiadást eredményez
TéF konklúzió HTA Összességében	A készítmény a klinikai vizsgálatok eredményei alapján hatásosan és biztonságosan csökkentette a vérzéses epizódok gyakoriságát. A pegilációval módosított hatóanyag hosszú távú biztonságosságával kapcsolatban nem állnak rendelkezésre információk. A béta-nonakog-pegol és eftrenonakog alfa terápiát összehasonlító, fázis I klinikai vizsgálat eredményei alapján a béta-nonakog-pegol hatóanyag kedvezőbb farmakokinetikai tulajdonságokkal rendelkezik. A béta-nonakog-pegol terápia az eftrenonakog alfa terápiával szemben alacsonyabb költség mellett magasabb hasznosságot biztosít. A kasszahatás teljeskörű megítéléséhez a rekombináns készítmények jövőbeli piaci részesedésének ismerete szükséges.		