



Technológia neve	Cutaquig 165 mg/ml oldatos injekció, 1x6 ml
Hatóanyag	humán normál immunglobulin
Alkalmazási előírásban szereplő terápiás javallat	Szubsztitúciós terápia felnőtteknél, gyermekeknél és serdülőknél (0-18 év) az alábbi esetekben: • Csökkent antitesttermeléssel járó, primer immunhiány (primary immunodeficiency, PID) szindrómák • Hypogammaglobulinaemia és visszatérő bakteriális fertőzések olyan, krónikus lymphoid leukaemiában (chronic lymphocytic leukaemia, CLL) szenvedő betegeknél, akiknél a profilaktikus antibiotikum-kezelés sikertelen volt vagy ellenjavallt • Hypogammaglobulinaemia és visszatérő bakteriális fertőzések myeloma multiplexben (MM) szenvedő betegeknél • Hypogammaglobulinaemia allogén haemopoeticus őssejtátültetés (allogeneic haematopoietic stem cell transplantation, HSCT) előtt álló és azon átesett betegeknél
Mire vonatkozóan érkezett a kérelem?	már támogatott hatóanyag új gyógyszerére
Kérelmezett támogatási kategória	speciális támogatási technika megjelölésével, tételes elszámolás alá
Kérelmezett indikáció	tételes 13-as pont: - Primer immunhiányos állapotok immunglobulin szubsztitúciós kezelése, valamint a Kawasaki szindróma kezelése.
Terápiás szükséglet	A humán normál immunglobulin készítmények a 9/1993. (IV. 2.) NM rendelet 13. pontján primer immunhiányos állapotok immunglobulin szubsztitúciós kezelése, valamint a Kawasaki szindróma kezelése indikációban támogatottak. A Magyarországon támogatással elérhető normál humán immunglobulin készítmények az alábbiak: - Gammanorm 165 mg/ml oldatos injekció - Hizentra 200 mg/ml oldatos injekció bőr alá történő beadásra - Humaglobin liquid 50 g/l oldatos infúzió - Intratect 100 g/l oldatos infúzió - Intratect 50 g/l oldatos infúzió - Octagam 100 mg/ml oldatos infúzió - Octagam 50 mg/ml oldatos infúzió - Panzyga 100 mg/ml oldatos infúzió - Pentaglobin 50 mg/ml oldatos infúzió - Privigen 100 mg/ml oldatos infúzió A Gammanorm és Hizentra készítmények kizárólag extravascularis használatra alkalmazhatóak.
Tudományos bizonyítékok	A készítménnyel primer immundeficiencia indikációban több fázis III-as, egy karú, nyílt elrendezésű vizsgálat született.
Terápiás hatás jellege	A legnagyobb betegszámú, 61 fő bevonásával végzett klinikai vizsgálat eredményeit Kobayashi és munkatársai publikálták 2019-ben. A vizsgálatba olyan 2 és 75 év közötti betegeket válogattak be, akik az ESID és a PAGID meghatározása szerint diagnosztizált primer immundeficienciában szenvedtek és hypogammaglobulinaemia vagy agammaglobulinaemia miatt immunglobulinpótló kezelést igényeltek. A vizsgálat egy 12 hetes bevezető (wash-in/wash-out) szakaszból és egy 52 hetes értékelési szakaszból állt. A betegek hetente részesültek subcutan immunglobulin (SCIg) kezelésben. Elsődleges végpontok voltak a készítmény hatásosságának felmérése a súlyos bakteriálisfertőzések (SBI) megelőzésében, illetve a farmakokinetikai tulajdonságok vizsgálata. A teljes vizsgálati időszak alatt egyetlen betegnél sem fordult elő SBI, egyéb fertőzést 52 betegnél figyeltek meg, összesen 188 esetben (3,43 eset/beteg/év). Enyhe vagy közepes súlyosságú kezeléshez köthető nemkívánatos eseményt 11 betegnél regisztráltak. Az esetek 76,7%-ában figyeltek



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

	meg az alkalmazás helyén fellépő lokális reakciókat. A készítmény összességében hatásosnak és jól tolerálhatónak bizonyult a vizsgálat során.						
A Kérelmező által választott komparátor	A Kérelmező komparátorként a Hizentra készítményt jelölte meg.						
Relatív hatásosság, biztonságosság	A normál humán immunglobulin készítményeket összehasonlító vizsgálatok nem érhetőek el, a szakirodalom az egyes készítményeket a hatásosság és biztonságosság tekintetében hasonlónak tekinti.						
TéF konklúzió Többlet-egészségnyereség	Bizonyított			Nem kellően alátámasztott		Nincs érdembeli többlet-egészségnyereség, vagy nincs bizonyíték	
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 finanszírozói nézőpontból készített egészség-gazdaságtani elemzésben a subcutan Cutaquig készítményt hasonlították össze a subcutan Hizentra készítménnyel költség-minimalizáció keretében. Sem a publikus áron számított, 1 milligrammra eső bruttó nagykereskedelmi ár alapján, sem pedig a felhasznált ampullák figyelembe vételével kalkulált egy betegre eső éves kezelési költség alapján nem áll fenn a költség-minimalizáció.						
A Kérelmező által becsült betegszám	1. év: 40 fő			2. év: 40 fő		3. év: 40 fő	
TéF konklúzió Költségvetési hatás	Mivel a tételes támogatásban részesülő készítmények esetén közbeszerzési eljárás keretében történik a gyógyszerek beszerzése, ezért nem várható költségvetési hatás növekedés a subcutan alkalmazású Cutaquig befogadása során.						
TéF konklúzió HTA Összességében	A beadvány részét képező „6/a számú melléklet a 32/2004. (IV.26.) ESzCsM rendelethez” dokumentum hiányosan került kitöltésre. A Technológia-értékelő Főosztály, figyelembe véve a benyújtott dokumentációban azonosított hiányosságokat, illetve az orvosszakmai és egészség-gazdaságtani elemzések tartalmát, a 9/1993. (IV. 2.) NM rendelet 13. pontján támogatott indikációknak megfelelően végezte el az értékelést. A rendelkezésre álló klinikai vizsgálati eredmények fázis III-as, egy karú, nyílt elrendezésű vizsgálatokból származnak, melyek alapján a készítmény hatásosnak és jól tolerálhatónak bizonyult primer immundeficiencia indikációban. A normál humán immunglobulin készítményeket összehasonlító vizsgálatok nem érhetőek el, a szakirodalom az egyes készítményeket a hatásosság és biztonságosság tekintetében hasonlónak tekinti. A Cutaquig 165 mg/ml oldatos injekció sem a publikus áron számított, 1 milligrammra eső bruttó nagykereskedelmi ár alapján, sem pedig a felhasznált ampullák figyelembe vételével kalkulált egy betegre eső éves kezelési költség alapján nem költség-minimalizál a Hizentra és a Gammanorm készítményekkel összehasonlítva. Mivel a tételes támogatásban részesülő készítmények esetén közbeszerzési eljárás keretében történik a gyógyszerek beszerzése, ezért nem várható költségvetési hatás növekedés a subcutan alkalmazású Cutaquig befogadása során.						