



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	Orkambi 100mg/125mg filmtabletta x112		
Hatóanyag	lumakaftor/ivakaftor		
Alkalmazási előírásban szereplő terápiás javallat	Az Orkambi tablettát cysticus fibrosis (CF) kezelésére javallott olyan 6 éves és idősebb betegeknél, akik a CFTR génen F508del mutációt hordoznak homozigóta formában.		
Mire vonatkozóan érkezett a kérelem?	új hatóanyagra		
Kérelmezett támogatási kategória	kiemelt, indikációhoz kötött támogatás		
Kérelmezett indikáció	EÜ100 9/a.: Cisztás fibrózis (mucoviscidosis)		
Terápiás szükséglet	A cisztás fibrózis kezelése jelenleg a légzőszervi és gasztrointesztinális betegség tüneteinek és progressziójának mérséklésére alkalmazott komplex (fizioterápia, légúti fertőzések megelőzése és kezelése, enzimpótlás, diétás terápia) kezelésből áll. A közelmúltban engedélyezett CFTR fehérje rendelkezését moduláló - köztük a kérelmezett lumakaftor/ivakaftor fix kombináció – készítmények a Phe508del homozigótáknál alkalmazhatók. CFTR modulátor jelenleg Magyarországon nem támogatott.		
Tudományos bizonyítékok	A lumakaftor/ivakaftor 100mg/125mg tablettát hatásosságát és biztonságosságát a kérelmezett indikációban 12 évesnél idősebb betegeknél a TRANSPORT&TRAFFIC, 2 identikus randomizált, kettős vak, placebo-kontrollált, multicentrikus fázis 3, 24 hetes vizsgálatban, majd annak hosszú távú, 96 hetes kiterjesztett tanulmányában (PROGRESS) értékelték. A PROGRESS trial fázis 3-as, paralel-csoportos vizsgálat volt. A 24 hetes vizsgálatokba 1122 páciens randomizáltak, a kiterjesztett vizsgálatban 1030 páciens vett részt. A pivotális vizsgálatokban alkalmazott adagok napi 600mg/250mg és napi 400mg/250mg. A 6-12 éves betegeknél a hatásosságot/biztonságosságot a Study 109, 24 hetes, paralel csoportos vizsgálatban, 206 beteg bevonásával végezték.		
Terápiás hatás jellege	A TRANSPORT&TRAFFIC vizsgálatok elsődleges végpontja a ppFEV1 24 hétre elért abszolút változása 2,6-4,0%-os, statisztikailag szignifikáns, klinikailag mérsékelt jelentőségű volt. Az 5%-nál nagyobb FEV1-növekményt elérő páciensek aránya 39-46% vs. 22% volt. Az exacerbációk száma 30-39%-kal csökkent a placebo-csoporthoz képest és kevesebb hospitalizációval és antibiotikum-használattal járt. A TRANSPORT vizsgálatban kismértékű BMI-javulás volt. Klinikailag jelentős életminőség-változást nem találtak CFQ-R teszttel. A Study 109-ben az elsődleges végpont, a LCI2.5 átlagos abszolút változása mérsékelt, a FEV1-változás kismértékű, a verejték klorid koncentrációja jelentősen csökkent, az exacerbációk gyakorisága, a BMI és életminőség nem változott.		
A Kérelmező által választott komparátor	A Kérelmező a best supportive care-t határozta meg komparátorként.		
Relatív hatásosság, biztonságosság	A készítmény relatív hatásosságára vonatkozóan a TRAFFIC és TRANSPORT vizsgálatokból közvetlen összevetés áll rendelkezésre, ugyanakkor ezek az információk köztes végpontokra vonatkozóan állnak rendelkezésre. A betegség szempontjából releváns, hosszú távú hatásosságot mérő végpontokon (például tüdőtranszplantáció szükségessége, halálozás) nem állnak rendelkezésre adatok.		
TéF konklúzió Többlet-egészségnyereség	<u>Bizonyított</u>	Nem kellően alátámasztott	Nincs érdembeli többlet-egészségnyereség, vagy nincs bizonyíték

**OGYÉI**Országos Gyógyszerészeti
és Élelmezés-egészségügyi Intézet1051 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 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 lumakaftor/ivakaftor nem költséghatékony a BSC-vel szemben. A többlet-egészségnyereség mértéke és annak klinikai jelentősége bizonytalan.					
A Kérelmező által becsült betegszám (aktív kar)	1. év: 247 fő		2. év: 429 fő		3. év: 479 fő	
TéF konklúzió Költségvetési hatás	megtakarító		semleges		<u>többletkiadást eredményez</u>	
TéF konklúzió HTA Összességében	A Kérelmezői elemzések alapján a terápia hatásos, mérsékelten javítja a légzőszervi funkciókat és csökkenti az pulmonális exacerbációk gyakoriságát. A modellezés során felhasznált feltételezések a költségek számítása esetén jelentősen befolyásolhatják a modell költség oldalát. A modellezés során számos esetben külföldi regiszterek adatai kerültek felhasználásra. A hasznosságok esetén 18 év feletti populáció vizsgálatából származó értékek kerültek a modellbe, valamint az Orkambi esetén hozzáadott hasznosságtöbblet keletkezésének helye nem került bemutatásra.					



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

Product name			
Compound name			
Therapeutic indications according to SOPC			
Requested reimbursement category			
DfHTA Conclusion Added benefit (PANSS)	Well established	Not well established	No particular added benefit or no evidence
DfHTA Conclusion Cost-effectiveness			
DfHTA Conclusion Budget impact	cost-saving	neutral	cost-increasing
DfHTA Conclusion Overall HTA			