



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 betegeknek, 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 rendelkezességét 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 betegeknek 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 betegeknek 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	Hazai körülmények között, a jelenleg elérhető kezeléshez képest a hozzáadott érték mértéke és jelentősége bizonytalan.					
TéF konklúzió						
Többségi 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	



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

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.		