



OGYÉI

Országos Gyógyszerészeti
és Élelmezés-egészségügyi Intézet

1051 Budapest, Zrínyi utca 3.
Levél cím: 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	Crysvita 20 mg oldatos injekció, 1x						
Hatóanyag	burosumab						
Alkalmazási előírásban szereplő terápiás javallat	A CRYSVITA csontbetegség radiológiai jeleivel társuló, X-kromoszómához kötött hypophosphataemiában (XLH) szenvedő, növekedésben lévő 1 éves és idősebb gyermekek és serdülők kezelésére javallott						
Mire vonatkozóan érkezett a kérelem?	új hatóanyagra						
Kérelmezett támogatási kategória	speciális támogatási technika megjelölésével, tételes elszámolás alá.						
Kérelmezett indikáció	új tételes pont						
Terápiás szükséglet	Az X-kromoszómához kötött hypophosphataemia (XLH) ritka, örökletes, progresszív és nem gyógyítható betegség. Kezelésének célja a tünetek mérséklése, a beteg életminőségének javítása. A jelenlegi standard ellátás alapja a foszfátpótlás és a D-vitamin metabolit alkalmazása.						
Tudományos bizonyítékok	A burosumab hatásosságát és biztonságosságát a kérelmezett indikációban 2 fázis II-es, kisbetegszámú vizsgálatban és egy fázis III-as, randomizált, aktív-kontrollos vizsgálatban értékelték. A kontroll karon foszfát + D vitamin kezelést alkalmaztak.						
Terápiás hatás jellege	A burosumab csökkenti a vesén keresztül történő foszfát-vesztést, emeli a szérumban foszfát-szintet, javítja a rachitis súlyosságát. A fázis III-as klinikai vizsgálatban az 1-12 éves gyermekekben előny igazolódott a jelenlegi standardnak tekinthető foszfát + D-vitamin metabolit kezeléssel szemben azon elsődleges és másodlagos hatásossági végpontokban, amelyek az angolkór súlyosságát radiológiai jelek alapján értékelő skálák változását elemezték. A Radiographic Global Impression of Change (RGI-C) végpontban a 40. héten +1,9 vs. +0,8 (legkisebb négyzetek átlagával számolva); a Ricket Severity Scores (RSS) változása a kiindulástól a 40. hétig -2,0 vs. -0,7 (legkisebb négyzetek átlaga).						
A Kérelmező által választott komparátor	A Kérelmező a burosumab-kezelést a legjobb szupportív kezeléssel vetette össze, amely foszfátot és D-vitamin metabolitot, valamint fizioterápiát, szükség esetén ortopédiai korrekciós beavatkozást tartalmaz.						
Relatív hatásosság, biztonságosság	A terápia relatív hatásosságára és biztonságosságára vonatkozóan a fázis III-as vizsgálat eredményei állnak rendelkezésre.						
TéF konklúzió Többlet-egészségnyereség RGI-C változása a 40. héten (fázis III vizsgálat elsődleges végpont)	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 burosumab terápia jelentősen magasabb költség mellett magasabb egészségnyereséget biztosít a BSC terápiához képest élethosszig tartó időtávon. A kérelmezett terápia nem költséghatékony a jelenlegi standard kezeléssel szemben.						
A Kérelmező által becsült betegszám (aktív kar)	1. év: 10 fő			2. év: 15 fő		3. év: 25 fő	
TéF konklúzió Költségvetési hatás	megtakarító			semleges		többletkiadást eredményez	



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 HTA Összességében	A buroszumab a rendelkezésre álló tudományos bizonyítékok alapján hatásosan javítja az angolkór súlyosságát az XLH-ban szenvedő gyermekek esetén, és a jelenlegi standard kezeléssel szemben többletelőny várható. Jelenleg limitáltak a 12 év feletti populációra vonatkozó, valamint a hosszabb távú hatásossági és biztonságossági adatok. A kérelmezett készítmény nem költséghatékony, befogadása esetén jelentős költségvetési kiáramlás valószínűsíthető.
--	--