



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	Hemlibra 150 mg/ml oldatos injekció (60 mg/0,4 ml), 1x						
Hatóanyag	emicizumab						
Alkalmazási előírásban szereplő terápiás javallat	A Hemlibra a vérzéses epizódok rutinszerű profilaxisára javallott: • haemophilia A-ban (veleszületett VIII-as faktor hiány), VIII-as faktor elleni inhibitorokkal • súlyos haemophilia A-ban (veleszületett VIII-as faktor hiány, FVIII <1%), VIII-as faktor elleni inhibitorok nélkül.						
Mire vonatkozóan érkezett a kérelem?	új indikációra						
Kérelmezett támogatási kategória	közbeszerzés útján beszerzett gyógyszerek esetén, különkeretes gyógyszerek körébe						
Kérelmezett indikáció	új indikációra						
Terápiás szükséglet	A haemophilia A betegség nem gyógyítható, a vérzéses események és azok következményeinek elkerülése a terápia célja. Jelenleg Magyarországon társadalombiztosítási támogatással elérhetőek humán plazmakészítmények (Beriate, Fanhdi, Haemoctin, Humaclo, Octanate) és rekombináns készítmények egyaránt (Recombinate; Kogenate; Helixate; Advate; ReFacto AF; NovoEight; Kovaltry; Adynovi; Nuwig; Elocta).						
Tudományos bizonyítékok	A randomizált, multicentrikus, nyílt elrendezésű, fázis III HAVEN 3 vizsgálatban ≥12 éves, gátlótest nélküli súlyos haemophilia A-ban szenvedő betegeket kezeltek emicizumab hatóanyaggal. A profilaktikus kezelés hatását értékelték hetente vagy kéthetente történő szubkután alkalmazás során. A on demand kezeléssel szemben a kezelést igénylő vérzéses események száma csökkent (az éves vérzési ráta 96%-os csökkenés a hetente, 97 %-os csökkenés a kéthetente történő alkalmazás során). A jelenleg is folyamatban lévő HAVEN 4 klinikai vizsgálat eredményei alapján a 4 hetente egyszer alkalmazott emicizumab profilaxis hatásosan és biztonságosan csökkenti a vérzéses események kockázatát.						
Terápiás hatás jellege	A szakmai irányelv (MASAC) ajánlása és a nyílt elrendezésű, fázis III klinikai vizsgálatból származó eredmények alapján a terápia hatásosan és biztonságosan csökkenti vérzéses események kockázatát.						
A Kérelmező által választott komparátor	octocog alfa; turoctocog alfa; simoctocog alfa						
Relatív hatásosság, biztonságosság	A Kérelmező az egészség-gazdaságtani elemzés alapjául szolgáló modellhez a HAVEN 3 klinikai vizsgálatból származó eredményeket, valamint egy 2018-ban készített hálózatos metaanalízist használtak fel. A metaanalízis során a rekombináns FVIII készítményekkel hasonlították össze az emicizumab profilaktikus kezelések hetente vagy kéthetente történő alkalmazását. Az elemzés eredményei alapján az emicizumab profilaktikus kezelés szuperior az on demand kezeléssel szemben, szintén hatásosabbnak bizonyult a FVIII profilaxissal szemben, a hetente és kéthetente alkalmazott emicizumab profilaxis hatásosságában nem mutatkozott szignifikáns különbség. Biztonságosságot nem hasonlítottak össze.						
TéF konklúzió Többlet-egészségnyereség (ABR)	<u>Bizonyított</u>				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	Az emicizumab terápia a jelenleg alkalmazott FVIII profilaxishoz viszonyítva költségmegtakarító alternatívát jelent a benyújtott beadvány alapján a rendszeres profilaktikus kezelést igénylő non-inhibitoros betegek részére, amennyiben a listaáron						



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

	számított gyógyszerköltségek mellett figyelembe vesszük a hospitalizáció-, adminisztrációs-, immuntolerancia indukció-, valamint a mellékhatások kezeléséből adódó költségeket is. Kizárólag a gyógyszeres profilaktikus kezelésekből adódó költségeket vizsgálva az emicizumab profilaxis a komparátorként vizsgált FVIII profilaxishoz viszonyítva kiáramlást generál.		
A Kérelmező által becsült betegszám (aktív kar)	1. év: 230 fő	2. év: 230 fő	3. év: 230 fő
TéF konklúzió			
Költségvetési hatás	megtakarító	semleges	többletkiadást eredményez
TéF konklúzió HTA Összességében	A klinikai vizsgálatok eredményei alapján az emicizumab hatóanyag hatásosan és biztonságosan csökkenti a vérzéses események előfordulásának gyakoriságát a ≥ 12 éves gátlótestektől mentes, súlyos, illetve minden korcsoportban a gátlótesttel rendelkező haemophilia A-ban szenvedő betegek kezelése során. A MAH a vizsgálati eredményeket, az inhibitorok jelenlététől függetlenül minden korcsoportra kiterjesztette. A Technológia-értékelő Főosztály véleménye szerint a rendelkezésre álló epidemiológiai és forgalmi adatok alapján a kérelmezői betegszámbecslés elfogadható. A haemophilia kezelésére szolgáló készítmények beszerzése közbeszerzés útján történik. Az éves keretmegállapodásokat a NEAK Nemzetközi Egységekre (NE) köti.		