



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	Wakix 4,5 mg, 18 mg filmtabletta, 30x		
Hatóanyag	pitolizant		
Alkalmazási előírásban szereplő terápiás javallat	A Wakix alkalmazása felnőtteknél javallott cataplexiával társuló vagy nem társuló narcolepsia kezelésére		
Mire vonatkozóan érkezett a kérelem?	új indikációra új hatóanyagra		
Kérelmezett támogatási kategória	kiemelt, indikációhoz kötött támogatás		
Kérelmezett indikáció	új indikáció		
Terápiás szükséglet	A narcolepsia ritkán előforduló, krónikus neurológiai betegség, kezelése tüneti. A szakmai ajánlások gyógyszeres és nem-gyógyszeres terápiás alternatívákat nevesítenek. A kérelmezett indikációban korlátozottak a hazánkban elérhető és támogatásba befogadott terápiás lehetőségek.		
Tudományos bizonyítékok	A pitolizant hatásosságát és biztonságosságát a cataplexiával társuló vagy nem társuló narcolepsia kezelésében két pivotális vizsgálatban és két szupportív vizsgálatban értékelték. A pivotális, 8 hétig tartó vizsgálatokban placebóval és modafinil-kezeléssel vetették össze a pitolizant terápiát. Egy publikált hálózatos meta-analízis is elérhető a releváns indikációra vonatkozóan.		
Terápiás hatás jellege	A narcolepsia nem gyógyítható kórkép, kezelésének célja a túlzott napközbeni aluszékonyság mérséklése, a cataplexia gyakoriságának csökkentése, az életminőség javítása. A nagyobb pitolizant dózist alkalmazó pivotális vizsgálatban (HARMONY-1) a placebóval szemben superioritás igazolódott az ESS (Epworth skála) pontszám változását tekintve, azonban a modafinil-kezeléssel összevetésben nem igazolódott a pitolizant non-inferioritása. A cataplexia hetenkénti előfordulása végpontban kismértékű különbség volt a pitolizant a placebo és a modafinil kezelési csoportok között. Ezekkel az eredményekkel nem voltak összhangban a kisebb pitolizant dózist alkalmazó másik pivotális vizsgálatban (HARMONY-1bis) elért eredmények, ahol az ESS pontszám változását tekintve nem volt szignifikáns különbség a placebohoz képest, valamint a cataplexia előfordulási gyakorisága növekvő tendenciát mutatott a pitolizant csoportban (0,84-ről 1,69-re), és a placebóval összevetésben nem volt szignifikáns különbség.		
A Kérelmező által választott komparátor	A Kérelmező – a leírás szerint – két hazai szakértői véleményére alapozta a hazai terápiás gyakorlat meghatározását és a komparátorterápiák választását. A szakvélemények alapján a narcolepsia kezelésében a modafinil (10%) és a metilfenidát (90%) terápiákat alkalmazzák, cataplexia esetében klomipramin-kezelést alkalmaznak (az esetek 100%-ában).		
Relatív hatásosság, biztonságosság	Lehert et al. 2018-ban publikált hálózatos meta-analízise a modafinil, pitolizant és nátrium oxibát relatív hatásosságát értékelte, összesen 14 randomizált, kontrollált vizsgálat bevonásával. A szerzők arra következtetésre jutnak, hogy a modafinil 200-400 mg/nap, a pitolizant 40 mg/nap és a nátrium oxibát 9 g/nap a nappali aluszékonyságra gyakorolt hatásosságot tekintve hasonló, és mindhárom terápia superior a placebohoz képest. A cataplexia előfordulási gyakoriságát tekintve a nátrium oxibát 9 g/nap és a pitolizant 40 mg/nap hatásossága összevethető.		
TéF konklúzió Többlet-egészségnyereség (ESS változása)	Bizonyított	Nem kellően alátámasztott	<u>Nincs érdembeli többlet-egészségnyereség, vagy nincs bizonyíték</u>



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

modafinillel összevetésben)							
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 benyújtott elemzés inputadatainak jelentős része szakértői becslésen alapul, illetve saját adatforrásból származik, így az egészség-gazdaságtani számítások korlátozottan használhatóak. A benyújtott elemzés alapján nem igazolt a terápia költséghatékonysága.						
A Kérelmező által becsült betegszám (aktív kar)	1. év: 100 fő			2. év: 200 fő		3. év: 300 fő	
TéF konklúzió Költségvetési hatás	megtakarító			semleges		<u>többletkiadást eredményez</u>	
TéF konklúzió HTA Összességében	A terápia pontos helyének és jelentőségének megítélését nehezíti a szakmai ajánlások hiánya, és a jelenleg elérhető evidenciákban rejlő bizonytalanságok (rövid távú adatok, limitált ismeret a relatív hatásossággal kapcsolatosan). A Kérelmező által bemutatott számítások alapján a költséghatékonyság nem bizonyított, az elemzés jelentős limitációkat hordoz magában.						