
Nyilvános összefoglaló

1. Kérelem tárgya

A kérelem **Lysodren 500 mg tabletta, 100x**, jelenleg társadalombiztosítási támogatással rendelkező készítmény áremelésére vonatkozik.

A **mitotan** hatóanyag (ATC kód: L01XX23), kiemelt, indikációhoz kötött támogatásban részesül, az alábbi indikációs ponton:

EÜ100 43.

„Endokrin tünetekkel járó, előrehaladott stádiumú (inoperabilis, metasztatikus vagy progrediáló) mellékvesekéreg-carcinoma tüneti kezelése kombinációs kemoterápia részeként három hónapig, ezt követően - progressziómentesség esetén - a klinikai remisszió fennállásáig”

Az indikációs ponton más termék jelenleg nem támogatott.

A Lysodren 500 mg tabletta, 100x készítmény alkalmazási előírásában szereplő terápiás javallat a következő:

„Előrehaladott stádiumban lévő (inoperabilis, áttétes vagy rosszabbodott) mellékvesekéreg carcinoma (ACC) tüneti kezelésére.

A Lysodren hatásossága a nem működő mellékvesekéreg carcinoma esetén nem bizonyított.”

2. A kérelmezett indikációban alkalmazható kezelési alternatívák

Az indikációs ponton más termék jelenleg nem támogatott. A mitotan hatóanyaggal megegyező indikációban terápiás alternatíva jelenleg nem érhető el.

3. Komparátorválasztás

A kérelem áremelésre vonatkozik, nem releváns.

4. A kérelmezett technológia orvosszakmai bizonyítékainak értékelése

4.1. Terápiás hatás jellege, klinikai jelentősége

Az irányelvekben szerepel, de klinikai vizsgálat során csak a Locally Advanced and Metastatic Adrenocortical Carcinoma Treatment (FIRM-ACT) tanulmányban vizsgálták, amelyben kombináció részét képezte.

A törzskönyvezés jogalapja: Bibliographical application (stand-alone)

A mitotant átfogó klinikai fejlesztési programokban nem vizsgálták. A rendelkezésre álló klinikai információk inoperábilis vagy áttétes mellékvese carcinomában szenvedő betegekkel kapcsolatban közölt adatokból származnak. Az általános túlélés tekintetében 4 vizsgálat azt a következtetést vonta le, hogy a mitotan kezelés nem javítja a túlélési arányt, míg öt másik vizsgálatban azt találták, hogy javítja a túlélési esélyt. Az utóbbi vizsgálatok közül háromban ezt a javulást kizárólag 14 mg/l feletti mitotan plazmaszintek felett figyelték meg.

4.2. Orvosszakmai evidenciák értékelése

A készítménnyel kapcsolatos evidenciák nagy része retrospektív adatelemzésből származik, ugyanakkor, a forgalombahozatali engedélyhez összesített adatok alapján az adrenocorticalis carcinoma kezelésére régóta alkalmazzák. A hatóanyaggal megegyező indikációban forgalombahozatali engedéllyel nem rendelkezik más készítmény.

Az áttekintett nemzetközi irányelvek (ESE/ESNAT, ESMO, NCCN) egyaránt javasolják a mitotan hatóanyag alkalmazását adjuváns terápiaként, illetve az lokálisan előrehaladott, inoperábilis és metasztatikus tumor szisztematikus kezeléseként.

4.3. Orvosszakmai limitációk, valamint az elemzés alapját képező hatásossági adatok, a kérelmezett indikáció és a hazai finanszírozási környezet koherenciájának bemutatása

Összességében elmondható, hogy az évtizedek óta ismert és a mellékvesekéreg carcinomás betegek kezelésében használt Lysodren a klinikai vizsgálatok és retrospektív elemzések alapján is hatásosnak bizonyult, ugyanakkor az adjuváns monoterápiaként történő alkalmazásával kapcsolatban nem egységes a megítélése. A jelenleg folyamatban lévő ADIUVO nagy betegszámú, fázis III nyílt elrendezésű vizsgálat célja a retrospektív elemzések esetében elért eredmények megerősítése.

5. Egészség-gazdaságtani bizonyítékok összefoglalása

5.1. Egészség-gazdaságtani elemzés célja és típusa

A benyújtott társadalombiztosítási támogatási kérelem áremelésre irányul, melyhez kapcsolódóan teljeskörű gazdasági elemzés nem készült.

Az elemzés során bemutatásra került az áremelés befogadása esetén keletkező egy betegre jutó éves terápiás költség-növekedés, valamint annak a költségvetésre gyakorolt hatása.

5.2. Egészség-gazdaságtani elemzés input adatai

A benyújtott társadalombiztosítási támogatási kérelem áremelésre irányul, melyhez kapcsolódóan teljeskörű gazdasági elemzés nem készült.

5.3. Egészség-gazdaságtani elemzés eredménye és értékelése

A benyújtott társadalombiztosítási támogatási kérelem áremelésre irányul, melyhez kapcsolódóan teljeskörű gazdasági elemzés nem készült.

5.4. Egészség-gazdaságtani elemzés limitációi

A benyújtott társadalombiztosítási támogatási kérelem áremelésre irányul, melyhez kapcsolódóan teljeskörű gazdasági elemzés nem készült.

6. Betegszám és költségvetési hatás nagysága

6.1. Becsült betegszám

A Kérelmező betegszám becslésekor a 2008-2020 időszakban megfigyelt forgalmi adatokat vette figyelembe, mely felhasználásával 15 főre becsüli a befogadást követő 3 évben kezelésbe vonható betegek számát.

6.2. Az összehasonlításra kerülő terápiák költsége

A kérvényezett indikációs ponton egyéb kezelési alternatíva nem található. A hatályos publikusan elérhető gyógyszer-törzsben **Lysodren 500 mg tabletta, 100x** készítmény XXX Ft termelői áron (XXX Ft bruttó fogyasztói ár) szerepel.

A kérelem a készítmény árát XXX Ft termelői árra kívánja módosítani, ami XXX Ft bruttó fogyasztói árat eredményez.

6.3. Költségvetési hatás

A Kérelmező az áremelés következtében az egy betegre jutó éves terápiás költség-növekedést XXX Ft-ra becsüli, ami hozzávetőleg XXX%-os emelkedést jelent a jelenlegi költségvetési hatáshoz képest.

Figyelembe véve a kezelésbe vonható betegek számát (évi 15 fő), az áremelés következtében bekövetkező bruttó költségvetési hatás XXX Ft, ami XXX Ft nettó költségvetési hatást eredményez.

A Kérelmező vállalja a jelenleg támogatott ár, és a kérelmezett ár közötti, 100% -os finanszírozás mellett jelentkező támogatás-különbözet dobozonkénti visszafizetését a készítmény további társadalombiztosítási támogatása esetén.

7. Nemzetközi kitekintés

Az SMC nem támogatja a készítmény befogadását (2006-12-11), az elégtelen evidenciaszintre hivatkozva. Az AWMSG nem támogatja a készítmény befogadását (2012-06-19). A HAS esetében csak a törzskönyvezésről szóló információ érhető el. A CADTH, NICE, IQWiG, NCPE és AIHTA irodák esetében nincs elérhető értékelés (2020-08-12).

8. Konklúzió

A mitotan hatóanyag az adrenocorticalis carcinoma konzervatív terápiájának alap szere, jelenleg terápiás alternatíva nem érhető el. A kérelem áremelésre irányul, azonban amennyiben az áremelés mértéke visszafizetésre kerül, úgy többlet-támogatás kiáramlás nem várható.