



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 61/2019 z dnia 29 lipca 2019 roku

w sprawie oceny leku Gilenya (fingolimodum) w ramach programu lekowego: „B.46 Leczenie stwardnienia rozsianego po niepowodzeniu terapii lekami pierwszego rzutu lub szybko rozwijającej się ciężkiej postaci stwardnienia rozsianego (ICD-10 G 35)”

*Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Gilenya (fingolimodum) kapsułki twarde, 0,5 mg, 28, kaps. EAN: 5909990856480, w ramach programu lekowego: „B.46 Leczenie stwardnienia rozsianego po niepowodzeniu terapii lekami pierwszego rzutu lub szybko rozwijającej się ciężkiej postaci stwardnienia rozsianego (ICD-10 G 35)”.*

#### Uzasadnienie

##### Problem decyzyjny

*Stwardnienie rozsiane (łac. sclerosis multiplex, SM) jest przewlekłym, demielinizacyjnym schorzeniem ośrodkowego układu nerwowego o nieznannej etiologii (wiele danych przemawia za etiologią autoimmunologiczną z wtórną neurodegeneracją).*

*Leczenie stwardnienia obejmuje terapię:*

- 1) rzutów choroby, które ma na celu minimalizację zmian w obrębie układu nerwowego w okresie zaostrzenia;*
- 2) leczenia modyfikującego przebieg choroby, mającego na celu zmniejszenie częstości występowania rzutów oraz wydłużenie czasu trwania remisji, co jest związane ze spowolnieniem postępu niepełnosprawności: leki immunomodulujące, leki immunosupresyjne;*
- 3) leczenia objawowego, związanego ze znoszeniem objawów choroby takich jak spastyczność, męczliwość, ból, zaburzenia czynności fizjologicznych i seksualnych oraz zaburzenia psychiczne.*

*Wnioskowany lek jest obecnie refundowany w ramach programu lekowego B.46 „Leczenie stwardnienia rozsianego po niepowodzeniu terapii lekami pierwszego rzutu lub szybko rozwijającej się ciężkiej postaci stwardnienia rozsianego (icd-10 g 35)”, jednak refundacja ograniczona jest do stosowania w populacji osób dorosłych. Oceniany wniosek refundacyjny dotyczy*



[Redacted text block]

*Populacje docelowe wnioskodawca podzielił na dwie podgrupy chorych:*

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

*Dodatkowo wnioskodawca przedstawił analizę wrażliwości, w której uwzględniono zmianę wybranych parametrów modelu. Zmiany te dotyczyły: początku horyzontu czasowego (2020 vs. 2019), kosztów leków (uwzględniono*

na podstawie Obwieszczenia MZ), początek horyzontu czasowego (2019 r.), koszt interferonu (oszacowano na podstawie średniego rocznego kosztu terapię interferonem – 1a (27 896,07 zł) lub na podstawie średniego rocznego kosztu lekami z programu lekowego B.29 (25 358,49 zł), kosztu podania fingolimodu, interferonu beta lub dowolnego leku z programu lekowego B.29 (uwzględniono koszt podania raz na kwartał lub raz na miesiąc), jednostkowy koszt leczenia rzutu (wartość ryczałtu za grupę z Zarządzenia Prezesa NFZ 119/2017/DSOZ), wiek początkowy pacjentów wchodzących do modelu prawdopodobieństwo kwalifikacji do proponowanego programu lekowego B.46 i B.29, prawdopodobieństwo kwalifikacji do programu B.46 po stwierdzeniu nieskuteczności IFN, prawdopodobieństwo nieskuteczności FIN, wariant analizy probabilistyczne (min. i max.), udział FIN w programie lekowym B.46 w grupie pacjentów z „częściową nieskutecznością”.

#### Dowody naukowe

Odnaleziono 9 rekomendacji pozytywnych i 1 rekomendację negatywną. Dowody naukowe są znane i opisane w CHPL. W ramach programu lekowego B.29 finansowanych jest obecnie siedem substancji czynnych: interferon beta-1a, interferon beta-1b, octanem glatirameru, peginterferon beta-1a, fumaran dimetylu, teryflunomid oraz alemtuzumab. Jednocześnie przedstawiono jedynie analizy porównujące fingolimod z interferonem beta-1a. Należy zauważyć, iż program lekowy B.29 nie precyzuje linii leczenia w jakiej należy stosować ww. substancje. Ponadto, zgodnie z wytycznymi AOTMiT, komparatorem dla ocenianej technologii w pierwszej kolejności powinna być aktualna praktyka medyczna. W tym kontekście interferon beta-1a nie może stanowić jedyne komparatora w przedstawianych analizach. Brak porównań z innymi komparatorami uniemożliwia merytoryczną ocenę zaproponowanych zmian.

#### Problem ekonomiczny



W opinii Rady scenariusz cenowy przedstawiony przez wnioskodawcę jest nierealny, pozbawiony uzasadnienia metodologicznego oraz nie wnosi żadnych informacji przydatnych w ocenie przedłożonego wniosku refundacyjnego.

### Główne argumenty decyzji

*Porównanie fingolimodu jedynie z interferonem beta-1a jest niewystarczające dla rzetelnej oceny złożonego wniosku refundacyjnego,*

*W analizie wpływu na budżet nie omówiono w sposób wyczerpujący i kompleksowy wszystkich aspektów związanych z proponowaną dogłębną zmianą organizacji leczenia stwardnienia rozsianego w Polsce, w szczególności znacznego przesunięcia pacjentów do leczenia lekami programu B.46.*

*Przedstawione analizy nie są wystarczające do oceny zaproponowanych, szerokich zmian w leczeniu pacjentów ze stwardnieniem rozsianym w Polsce.*

#### **Tryb wydania stanowiska**

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 784 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr: OT.4331.18.2019 „Wniosek o objęcie refundacją leku Gilenya (fingolimod) w ramach programu lekowego «Leczenie stwardnienia rozsianego po niepowodzeniu terapii lekami pierwszego rzutu lub szybko rozwijającej się ciężkiej postaci stwardnienia rozsianego (ICD-10 G 35)»”. Data ukończenia: 18.07.2019 r.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

*Dane zakreślone kolorem żółtym stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Novartis Poland sp. z o.o.).*

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem (Novartis Poland sp. z o.o.) o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

**Podstawa prawna wyłączenia jawności:** art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2016 r., poz. 1764 z późn. zm.) w zw. z art. 11 ust. 4 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2018 r., poz. 419).

**Organ dokonujący wyłączenia jawności:** Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji.

**Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności:** (Novartis Poland sp. z o.o.).