

Odpowiedzi na wezwanie do uzupełnienia niezgodności analiz przedłożonych w ramach wniosku o objęcie refundacją (OT.4331.44.2020.TG.2)

Uwaga

I.1. Wyjaśnienie: w wyniku wyszukiwania przez analityków Agencji, odnaleziono pierwotne badania skuteczności lub bezpieczeństwa opublikowane po dacie zakończenia wyszukiwania, przed datą złożenia wniosku, w przeglądzie systematycznym, spełniające kryteria włączenia do przeglądu wnioskodawcy:

- Xie X, Cai Q, Guo XY, Bai DH, Sheng HZ, Wang BK, Yan K, Lu AM, Wang XR. Effectiveness of Tolvaptan in the Treatment for Patients with Autosomal Dominant Polycystic Kidney Disease: A Meta-analysis. *Comb Chem High Throughput Screen.* 2020;23(1):6-16.
- Anderegg MA, Dhayat NA, Sommer G, Semmo M, Huynh-Do U, Vogt B, Fuster DG. Quality of Life in Autosomal Dominant Polycystic Kidney Disease Patients Treated With Tolvaptan. *Kidney Med.* 2020 Feb 26;2(2):162-171.

W świetle ukazania się powyższej pełnotekstowej publikacji dla rejestru Bern, należy zweryfikować zasadność odrzucenia w przeglądzie pozycji takich jak m.in.: Dhayat 2018, Barnawi 2018, Anderegg 2018 (AKL, Tabela 73) ze względu na brak pełnotekstowych publikacji włączonych do analizy oraz rozważyć włączenie innych publikacji związanych z tym badaniem aktualnych na dzień złożenia wniosku.

Odpowiedź

Przeгляд systematyczny medycznych baz danych zostanie zaktualizowany. W związku z tym wskazane publikacje zostaną uwzględnione w AKL.

Uwaga

II.1 Wyjaśnienie: w AKL nie przedstawiono informacji odnoszącej się do populacji polskiej, ani wyjaśnienia, że nie odnaleziono wskaźników w istniejącym piśmiennictwie naukowym.

Odpowiedź

Przedstawiono wszystkie odnalezione dane dotyczące wskaźników epidemiologicznych w rozpatrywanym problemie zdrowotnym (m.in. na podstawie podręcznika *Szczeklik 2018* czy danych odnalezionych na stronie EMA). Odpowiednie wyjaśnienie zostanie dodane w APD.

Uwaga

II. Wyjaśnienie: W kilku pozycjach przedstawiono powód wykluczenia, który nie jest określony w kryteriach włączenia i wykluczenia publikacji opisanych w Tabeli 1 AKL, tj. kryterium populacji (jak również załączona do wniosku treść programu lekowego) nie uściśla populacji do wyłącznie rasy kaukaskiej, na podstawie której wykluczono kilka publikacji m.in. Muto 2015, Muto 2015a, Muto 2017, Oguro 2018 (AKL, Tabela 73).

Ponadto dla wielu pozycji wskazano jako powód wyłączenia „przeгляд nie spełnia kryteriów systematyczności Cook”. Kryteria włączenia i wykluczenia publikacji opisane w Tabeli 1 AKL dla przeglądów nie opisują wymogu spełnienia kryteriów Cook oraz wymaganego poziomu kwalifikującego do AKL w przeglądzie systematycznym. Opisano jedynie w rozdziale 3.3 AKL, że jakość włączonych przeglądów systematycznych oceniono pod kątem spełniania kryteriów Cook oraz dodatkowo na podstawie AMSTAR2.

Odpowiedź

Kryterium dotyczące populacji zostanie doprecyzowane w PICO (do analizy nie włączano badań w których uczestniczyli wyłącznie chorzy rasy innej niż kaukaska).

Przeгляд systematyczny według kryteriów Cook oznacza przeгляд który otrzymał co najmniej 4 punkty według tych kryteriów. Wyjaśnienie znajduje się w AKL w rozdziale z opisem stosowanych skal i kwestionariuszy. Dodatkowo wyjaśnienie to zostanie dodane do opisu kryteriów PICO.

Uwaga

II. 3 Wyjaśnienie: w AKL nie wskazano komunikatów/ostrzeżeń na temat bezpieczeństwa skierowanych do osób wykonujących zawody medyczne pochodzących ze stron URPL, EMA i FDA, ani nie zamieszczono informacji o braku takich komunikatów/ostrzeżeń dotyczących stosowania technologii wnioskowanej

Odpowiedź

W AKL w celu wykonania pełnej oceny bezpieczeństwa dla tolwaptanu przeszukano publikacje urzędów zajmujących się nadzorem i monitorowaniem bezpieczeństwa produktów leczniczych pod kątem informacji skierowanych do osób wykonujących zawody medyczne: EMA, ADRReports, FDA, WHO UMC oraz URPLW MiPB. Wszystkie odnalezione dane dotyczące profilu bezpieczeństwa ocenianej technologii medycznej w rozpatrywanej populacji docelowej, odnalezione na stronach zajmujących się nadzorem i monitorowaniem bezpieczeństwa produktów leczniczych zostały uwzględnione w AKL. Obecnie przeгляд publikacji wydanych

przez wskazane powyżej urzędy zostanie zaktualizowany. W związku z tym jeśli odnalezione zostaną nowe komunikaty zostaną one uwzględnione w AKL.

Uwaga

III. 1 Analiza podstawowa nie zawiera dokumentu elektronicznego, umożliwiającego powtórzenie wszystkich kalkulacji i oszacowań [...].

Odpowiedź

Arkusze kalkulacyjny zawierający model ekonomiczny zostanie dołączony do wniosku.

Uwaga

III. 2 Analiza wrażliwości nie zawiera jasno określonego uzasadnienia dla przyjęcia testowanych zakresów zmienności.

Odpowiedź

Uzasadnienie zakresów zmienności testowanych w analizie wrażliwości parametrów zostanie uzupełnione.

Uwaga

III. 3 Analiza wrażliwości nie zawiera wartości ICER oraz cen progowych za opakowanie.

Odpowiedź

Analiza wrażliwości zostanie uzupełniona o oszacowanie wskazanych wartości wynikowych. Przeliczenie zostanie wykonane zgodnie z aktualnym progiem opłacalności równym 155 514 PLN.

Uwaga

IV. 1 Analiza wpływu na budżet nie zawiera wskazania dowodów spełnienia wymagań, o których mowa w art. 15 ust. 3 pkt 1 ustawy, które należy wskazać, w przypadku utworzenia nowej, odrębnej grupy limitowej.

Odpowiedź

Stosowne wyjaśnienie zostanie dodane i w sposób wyczerpujący sformułowane w rozdziale 8.1 Analizy wpływu na budżet.

W przypadku leku Jinarc® nie są spełnione wymagania, o których mowa w art. 15 ust. 3 pkt 1 Ustawy o refundacji. Nie ma to jednak żadnego wpływu na decyzję w zakresie kwalifikacji do wspólnej albo odrębnej grupy limitowej. Zapis punktu 1 („... w przypadku, gdy droga podania leku lub jego postać farmaceutyczna w istotny sposób ma wpływ na efekt zdrowotny lub dodatkowy efekt zdrowotny”) dotyczy tylko sytuacji, w której lek zawierający daną substancję czynną jest już refundowany (ale jest to lek o innej drodze podania lub innej postaci farmaceutycznej niż lek wnioskowany).

Na podstawie art. 15 Ustawy o refundacji należy stwierdzić, że leku Jinarc® nie można zakwalifikować do żadnej z obecnie istniejących grup limitowych.

Uwaga

V. 1 Analiza ekonomiczna oraz analiza wpływu na budżet nie zawierają danych bibliograficznych wykorzystanych publikacji z zachowaniem stopnia szczegółowości umożliwiającego ich jednoznaczną identyfikację.

Wyjaśnienie: w AE wnioskodawcy wymieniono publikację „Otsuka. OVERTURE study – utility decrements. Data File. 2018”, natomiast w BIA wnioskodawcy wymieniono publikację „NHANES III”. Stopień szczegółowości cytowań uniemożliwia jednoznaczną identyfikację publikacji. Agencja zwraca się jednocześnie z prośbą o udostępnienie przedmiotowej publikacji..

Odpowiedź

Przedmiotowe publikacje zostaną opisane w spisie bibliograficznym AE i BIA w sposób jednoznaczny oraz zostaną udostępnione Agencji.

Uwaga

V. 2 W przedłożonych analizach nie wskazano wszystkich źródeł informacji.

Wyjaśnienie: w AE wnioskodawcy, autorzy analizy powołują się na wyniki „Ankiety przeprowadzonej wśród ekspertów klinicznych”. Dokument ten nie figuruje w piśmiennictwie oraz brak jest informacji o danych osobowych ankietowanych ekspertów.

Odpowiedź

Z uwagi na ochronę danych osobowych ekspertów klinicznych uzupełnienie w tym względzie nie będzie mogło być zrealizowane.