



Minister Zdrowia

Warszawa, 2015-11-25

PLA.4600.412.2015.2.DJ

Polska Koalicja
Pacjentów Onkologicznych

Grupa Wsparcia Chorych
na Nowotwory Mieloproliferacyjne

W odpowiedzi na złożoną do Ministra Zdrowia petycję „O refundację skutecznych leków w rzadkich nowotworach szpiku”, dotyczącą finansowania ze środków publicznych leku zawierającego substancję czynną rüksolitynib, uprzejmie informuję, że po przeprowadzeniu postępowań administracyjnych, wszczętych w związku ze złożeniem przez uprawniony podmiot wniosków o objęcie refundacją i ustalenie urzędowych cen leku Jakavi (rüksolitynib) w ramach programu lekowego: *Leczenie mielofibrozy pierwotnej oraz mielofibrozy wtórnej w przebiegu czerwienicy prawdziwej i nadpłytkowości samoistnej*, Minister Zdrowia, w dniu 9 listopada 2015 r., wydał decyzje administracyjne, w których odmówił objęcia refundacją ww. leku w ramach wnioskowanego programu.

Należy wskazać, iż Minister Zdrowia, wydał przedmiotowe decyzje mając na uwadze uzyskanie jak największych efektów zdrowotnych w ramach dostępnych środków publicznych, po wnikliwym rozpatrzeniu niżej wymienionych kryteriów, ujętych w art. 12 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2015 r. poz. 345):

- 1) stanowiska Komisji Ekonomicznej,
- 2) rekomendacji Prezesa Agencji,
- 3) istotności stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek o objęcie refundacją,

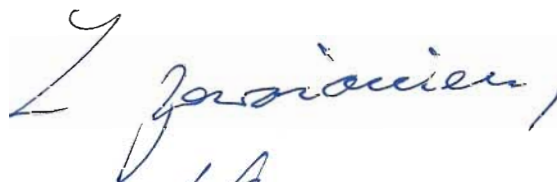
- 4) skuteczności klinicznej i praktycznej,
 - 5) bezpieczeństwa stosowania,
 - 6) relacji korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania,
 - 7) stosunku kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych dotychczas refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych, w porównaniu z wnioskowanym,
 - 8) konkurencyjności cenowej,
 - 9) wpływu na wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorców,
 - 10) istnienia alternatywnej technologii medycznej, w rozumieniu ustawy o świadczeniach, oraz jej efektywności klinicznej i bezpieczeństwa stosowania,
 - 11) wiarygodności i precyzji oszacowań kryteriów, o których mowa w pkt 3-10,
 - 12) priorytetów zdrowotnych określonych w przepisach wydanych na podstawie art. 31a ust. 2 ustawy o świadczeniach,
 - 13) wysokości progu kosztu uzyskania dodatkowego roku życia skorygowanego o jakość, ustalonego w wysokości trzykrotności Produktu Krajowego Brutto na jednego mieszkańca, o którym mowa w art. 6 ust. 1 ustawy z dnia 26 października 2000 r. o sposobie obliczania wartości rocznego produktu krajowego brutto (Dz. U. Nr 114, poz. 1188 oraz z 2009 r. Nr 98, poz. 817), a w przypadku braku możliwości wyznaczenia tego kosztu - koszt uzyskania dodatkowego roku życia
- biorąc pod uwagę inne możliwe do zastosowania w danym stanie klinicznym procedury medyczne, które mogą być zastąpione przez wnioskowany lek, środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrób medyczny.

Podkreślenia wymaga również, iż wydanie przedmiotowych decyzji poprzedzone było, zgodnie z obowiązującymi w tym zakresie przepisami ww. ustawy o refundacji, przeprowadzeniem wieloetapowych postępowań administracyjnych, w ramach których Minister Zdrowia uzgodnił z ekspertami i Wnioskodawcą opis programu lekowego, zlecił Prezesowi Agencji Oceny Technologii Medycznych (obecnie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji – AOTMiT) przygotowanie analizy weryfikacyjnej, stanowiska Rady i rekomendacji Prezesa, a działająca przy Ministrze Zdrowia Komisja Ekonomiczna prowadziła z Wnioskodawcą negocjacje w zakresie: ustalenia urzędowej ceny zbytu, poziomu odpłatności, wskazań, w których lek ma być refundowany oraz instrumentu dzielenia ryzyka.

W tym miejscu należy zaznaczyć, iż w Rekomendację nr 120/2014 z dnia 12 maja 2014 r. w sprawie objęcia refundacją produktu leczniczego Jakavi w ramach programu lekowego: *Leczenie mielofibrozy pierwotnej oraz mielofibrozy wtórnej w przebiegu czerwienicy prawdziwej i nadpłytkowości samoistnej*, Prezes Agencji rekomendował objęcie refundacją przedmiotowego leku, podkreślając jednocześnie konieczność realnego obniżenia kosztu terapii z uwagi na brak efektywności kosztowej. Według oszacowań Wnioskodawcy, przedstawionych w analizie ekonomicznej, koszt uzyskania dodatkowego roku życia skorygowanego o jakość (QALY), wyrażony w postaci inkrementalnego współczynnika kosztów-użyteczności (ICUR) wyniósł 526 169,00 PLN z perspektywy NFZ oraz 526 127,27 PLN z perspektywy wspólnej: płatnika i pacjenta. Zatem ICUR jest ponad 4-krotnie wyższy niż obowiązujący próg efektywności kosztowej dla nowych technologii lekowych obejmowanych refundacją równy 3xPKB per capita, tj. 125 955 PLN/QALY. Zgodnie z zaproponowanymi przez Wnioskodawcę warunkami finansowymi, miesięczny koszt terapii dla jednego pacjenta, w zależności od przyjmowanej dawki, kształtuje się na poziomie od ok. 20 tys. zł do ponad 30 tys. Warunki objęcia refundacją leku Jakavi były dwukrotnie przedmiotem negocjacji Komisji Ekonomicznej z Wnioskodawcą. Nie udało się jednak osiągnąć porozumienia gwarantującego efektywność kosztową omawianej technologii lekowej. Komisja Ekonomiczna, w przyjętym w drodze uchwały stanowisku, zaproponowane przez Wnioskodawcę warunki uznała za nieodpowiednie.

Należy także podkreślić, iż zastrzeżenia ekspertów AOTMiT oraz Ministra Zdrowia, budziły przedstawione przez Wnioskodawcę dowody naukowe, dotyczące skuteczności klinicznej i praktycznej oraz bezpieczeństwa stosowania leku Jakavi. Analiza kliniczna Wnioskodawcy oparta zastała o dwa pierwotne, randomizowane badania kliniczne COMFORT-I i COMFORT-II. W badaniu COMFORT-I, przeprowadzonym metodą podwójnie ślepej próby, porównano ruksolitynib z placebo. Badanie COMFORT-II, porównujące ruksolitynib z najlepszą dostępną terapią, było badaniem otwartym, przy czym najlepsza dostępna terapia (BAT) została zdefiniowana jako brak terapii lub każde komercyjnie dostępne leki stosowane w monoterapii lub terapii skojarzonej w leczeniu mielofibrozy lub jej objawów. Jak podał Wnioskodawca, w grupie otrzymujących BAT prawie 33 % stanowili pacjenci nie przyjmujący żadnej terapii. Analizowane w ramach ww. badań COMFORT kryteria poprawy klinicznej odnoszą się głównie do redukcji wielkości śledziona, podczas gdy kryteria poprawy klinicznej

wg IWG-MRT (International Working Group for Myeloproliferative Neoplasms Research and Treatment) obejmują również redukcję objawów hematologicznych, które w badaniach włączonych do analizy wnioskodawcy zostały ocenione tylko w ramach oceny bezpieczeństwa stosowania leku. Nadmienić należy, że w przypadku pacjentów poddanych terapii ruxsolitynibem, parametry hematologiczne (anemia, trombocytopenia, neutropenia) oceniane w ramach badań COMFORT uległy istotnemu pogorszeniu. Równocześnie odpowiedź na leczenie nie była oceniana w oparciu o kryteria zdefiniowane przez IWG-MRT, które odnoszą się do całkowitej lub częściowej remisji choroby. Włączone do analizy badania nie zostały także zaprojektowane w sposób, który by pozwolił z odpowiednią siłą statystyczną wykryć istotne statystycznie różnice odnośnie punktu końcowego: *przeżycie ogólne* (OS).



Z upoważnienia
MINISTRA ZDROWIA
PODSEKRETARZ STANU

Krzysztof Łanda