

**Liečivo Alfaoktokog (Advate) na profylaxiu a liečbu
krvácavých stavov spôsobených vrodeným nedostatkom
faktoru VIII (okrem von Willebrandovej choroby)**

Skrátené hodnotenie špecifického prípadu lieku

Publikované dňa: 18. 06. 2022



Informácie o obsahu

Vydavateľ

Národný inštitút pre hodnotu a technológie v zdravotníctve
Zámocké schody 2/A, 811 01, Bratislava

Zodpovedný za obsah

Národný inštitút pre hodnotu a technológie v zdravotníctve
Zámocké schody 2/A, 811 01, Bratislava
<http://niho.sk/>

Hodnotenia zdravotníckych technológií Národného inštitútu pre hodnotu a technológie v zdravotníctve sú dostupné na internetovom sídle <http://niho.sk/>

Hodnotenie číslo: 04/2022

Obsah

Záver odborného hodnotenia.....	5
1. Predmet hodnotenia.....	6
1.1. Výskumné otázky	6
2. Metóda.....	6
2.1. Výskumné podotázky	6
2.2. Zdroje.....	6
2.3. Prehľad literatúry	7
2.4. Analýza	7
2.5. Syntéza	7
3. Úvod.....	8
3.1. Zdravotný problém a súčasné použitie technológie	8
3.2. Opis a technické vlastnosti technológie	11
4. Hodnotenie klinického prínosu.....	13
4.1. Sumár hodnotenia klinického prínosu.....	13
4.2. Klinická účinnosť.....	13
4.3. Bezpečnosť	14
4.4. Diskusia k hodnoteniu klinickému prínosu	14
5. Ekonomické hodnotenie.....	15
5.1. Sumár ekonomického hodnotenia.....	15
5.2. Hodnotenie analýzy dopadu na rozpočet	16
6. Etické, organizačné, sociálno-pacientske a právne aspekty	17
6.1. Sumár etickej, organizačnej, sociálno-pacientskej a právnej analýzy	17
7. Zdroje.....	19

Tabuľky

Tabuľka 1: Predpokladaný počet pacientov liečených liekom Advate v sile 2 000 IU resp. 3 000 IU v rokoch 2022- 2027 9

Tabuľka 2: Navrhovaná úhrada za liek Advate v silách 2000 IU a 3000 IU 12

Tabuľka 3: Porovnanie nákladov na liečbu jedného pacienta liekom Advate pri kombinácii viacerých liekov s cieľom dosiahnutia požadovanej dávky a pri použití jednej liekovky s obsahom 2000 IU resp. 3000 IU – aktuálne platná úhrada k 1.2.2022 12

Použité skratky

DR	Držiteľ registrácie
EHL	extended half life
EUnetHTA	European Net of HTA Agencies
HTA	Health technology assessment
IU	International units
NA	not available
NHC	Národné hemofilické centrum
NIHO	Národný inštitút pre hodnotu a technológie v zdravotníctve
PDFVIII	plasma-derived factor VIII
rFVIII	recombinant factor VIII
SHL	standard half life
WFH	World Federation of Hemophilia

Záver odborného hodnotenia

Odporúčanie

Podľa § 3 zákona 358/2021 Z.z. Národný inštitút pre hodnotu a technológie v zdravotníctve odporúča vyhovieť žiadosti držiteľa registrácie o zaradenie lieku Advate v predmetných silách a v predmetnej indikácii.

Odôvodnenie

Liek Advate je zaradený v zozname kategorizovaných liekov v injekčných liekvoch s obsahom 250 IU, 500 IU, 1000 IU a 1500 IU a jeho žiadosť ID B02BD02 žiada o kategorizovanie nových síl lieku Advate (2000 IU a 3000 IU). Z tohto dôvodu neprebehlo štandardné hodnotenie klinického prínosu, keďže držiteľ registrácie (DR) už dôkaz o klinickom prínose predkladal pri svojom predošlom zaradení nižších síl.

Stotožňujeme sa s názorom DR o prínose nových síl lieku Advate. Z dôvodu individuálneho dávkovania lieku Advate v závislosti od telesnej hmotnosti pacienta a závažnosti ochorenia považujeme rozšírenie spektra dostupných síl koagulačných faktorov VIII zjednodušujúcim faktorom pre podávanie liečby tým pacientom, ktorí potrebujú dávku 2000 IU alebo 3000 IU. Nebude tak potrebné kombinovať viacero liekov s rôznym obsahom. Príchod nových síl (2000 IU a 3000 IU) zároveň nepredstavuje nové náklady pre verejné zdravotné poistenie.

Časový prehľad priebehu hodnotenia

Podanie žiadosti o kategorizáciu	28.02.2022
Začatie plynutia lehoty na vydanie rozhodnutia vo veci kategorizácie	28.02.2022
Vydanie odporúčania	18.06.2022
Celkové trvanie hodnotenia	110 dní

1. Predmet hodnotenia

1.1. Výskumné otázky

1. Aká je účinnosť a bezpečnosť alfaoktokogu (Advate) v porovnaní s relevantnými komparátormi vo slovenskom kontexte na úrovni ukazovateľov relevantných pre mortalitu, morbiditu, kvalitu života a závažné nežiadúce účinky?
2. Spĺňa alfaoktokog (Advate) zákonné kritériá nákladovej efektívnosti?
Aké sú ďalšie relevantné etické, organizačné, sociálno-pacientské a právne aspekty týkajúce sa potenciálnej úhrady liečiva alfaoktokogu (Advate)?

2. Metóda

2.1. Výskumné podotázky

Na skrátené hodnotenie špecifického prípadu lieku boli použité vybrané výskumné podotázky z EUnetHTA Core Model 3.0, ktoré sú uvedené v jednotlivých kapitolách hodnotenia. Z dôvodu nehodnotenia klinického prínosu, ekonomických, etických, organizačných, sociálno-pacientskych a právnych aspektov boli v jednotlivých kapitolách tieto otázky vynechané.

2.2. Zdroje

Úvod

- Dokumenty poskytnuté držiteľom registrácie (žiadosť, rozbor)

Hodnotenie klinického prínosu

- Z dôvodu skráteného hodnotenia špecifického prípadu žiadosti o kategorizáciu nových síl už kategorizovaného lieku Advate neprebehlo štandardné hodnotenie klinického prínosu.

Ekonomické hodnotenie

- Z dôvodu skráteného hodnotenia špecifického prípadu žiadosti o kategorizáciu nových síl už kategorizovaného lieku Advate neprebehlo štandardné ekonomické hodnotenie.

Etické, organizačné, sociálno-pacientske a právne aspekty

- Z dôvodu skráteného hodnotenia špecifického prípadu žiadosti o kategorizáciu nových síl už kategorizovaného lieku Advate neprebehlo štandardné hodnotenie etických, organizačných, sociálno-pacientskych a právnych aspektov.

2.3. Prehľad literatúry

Z dôvodu skráteného hodnotenia špecifického prípadu žiadosti o kategorizáciu nových síl už kategorizovaného lieku Advate nebol vykonaný štandardný prehľad literatúry.

2.4. Analýza

Z dôvodu skráteného hodnotenia špecifického prípadu žiadosti o kategorizáciu nových síl už kategorizovaného lieku Advate nebola vykonaná štandardná analýza klinických a ekonomických dát.

2.5. Syntéza

Z dôvodu skráteného hodnotenia špecifického prípadu žiadosti o kategorizáciu nových síl už kategorizovaného lieku Advate nebola vykonaná štandardná syntéza klinických dát.

3. Úvod

3.1. Zdravotný problém a súčasné použitie technológie

Zdravotný problém a súčasné použitie technológie (CUR)	
Element ID	Výskumná otázka
A0002	Čo je ochorenie alebo zdravotný problém v zameraní tohto hodnotenia?
A0007	Čo je cieľová populácia v tomto hodnotení?
A0023	Koľko ľudí patrí do cieľovej populácie?
A0003	Aké rizikové faktory majú vplyv na predmetné ochorenie?
A0004	Aký je prirodzený priebeh ochorenia?
A0005	Akú záťaž vytvára ochorenie pre pacientov?
A0006	Aké sú konzekvencie ochorenia alebo zdravotného problému pre spoločnosť?
H0200	Aké majú pacienti skúsenosti s predmetným ochorením alebo zdravotným problémom?
A0024	Ako je ochorenie v súčasnosti diagnostikované podľa štandardných postupov a v klinickej praxi?
A0025	Aké je v súčasnosti cesta pacienta podľa štandardných postupov a v klinickej praxi?

3.1.1. Predmetná hodnotená indikácia a cieľová populácia

Predmetné ochorenie (A0002) [1]

Hemofília A (dedičný nedostatok faktora VIII, diagnóza D66 podľa MKCH-10) je zriedkavé dedičné ochorenie (porucha hemostázy) zapríčinené deficitom koagulačného faktora VIII.

Cieľová populácia (A0007, A0023) [1]

DR požaduje úhradu pre pacientov s hemofiliou A, u ktorých je potrebná profylaxia a liečba krvácajúcich stavov spôsobených vrodeným alebo získaným nedostatkom faktora VIII (okrem von Willebrandovej choroby).

Na Slovensku sú pacienti s hemofiliou a inými vrodenými krvácajúcimi poruchami evidovaní v Národnom registri vrodených krvácajúcich chorôb, ktorý vedie Národné hemofilické centrum (NHC) v Bratislave. NHC poskytuje do World Federation of Hemophilia (WFH) okrem iných aj údaje o výskyte ochorenia na Slovensku. Posledná dostupná správa „Report on the Annual Global Survey“ WHF bola publikovaná v roku 2021 a pojednáva o údajoch za rok 2020. Podľa údajov z tohto zdroja je na Slovensku registrovaných 630 pacientov s hemofiliou (A aj B), 765 identifikovaných pacientov s von Willebrandovou chorobou a 1 344 identifikovaných pacientov s inými krvácajúcimi poruchami koagulácie. V roku 2020 bolo podľa tohto zdroja na Slovensku evidovaných 546 pacientov s hemofiliou typu A.

Držiteľ registrácie predpokladá po zaradení do zoznamu kategorizovaných liekov (ZKL) k 1.9.2022 nasledujúci počet pacientov liečených liekom Advate v sile 2 000 IU a liekom Advate v sile 3 000 IU:

Tabuľka 1: Predpokladaný počet pacientov liečených liekom Advate v sile 2 000 IU resp. 3 000 IU v rokoch 2022- 2027

Rok	2022	2023	2024	2025	2026	2027
8646B Advate 2 000 IU	4	9	16	18	20	21
8647B Advate 3 000 IU	1	1	1	1	1	1
Spolu	5	10	17	19	21	22

Pozn. kumulatívny stav k decembru daného roka

3.1.2. Charakteristika ochorenia

Rizikové faktory ochorenia (A0003) [1]

Podľa výsledkov z globálneho prieskumu („Report on the Annual Global Survey“) vykonávaného každoročne Svetovou hemofilickou federáciou (World Federation of Hemophilia, WFH) bolo v 120 krajinách sveta v roku 2020 zaznamenaných 165 379 pacientov s hemofiliou A (2). Hemofília A postihuje najmä mužov, podľa prieskumu WFH z roku 2020 bolo zastúpenie mužov 90 %. Z hľadiska závažnosti ochorenia je zastúpenie ťažkého stupňa ochorenia v populácii mužov z vysokopríjmových krajín najvyššie (45,5 %). U žien prevláda (89,91 %) ľahký stupeň hemofílie A.

Prírodný priebeh ochorenia (A0004) [1]

Hemofília A je nevyliciteľná, vrodená krvácajúca choroba, ktorá má za následok zhoršenú zrážateľnosť krvi a predĺžený čas krvácania. Jedná sa o recesívnu genetickú poruchu viazanú na X chromozóm, dôsledkom ktorej je nedostatočná tvorba funkčného faktora VIII (FVIII), esenciálneho faktora zrážania krvi. Hemofília A, postihuje 1 z 5 000 mužov. Ide o celoživotné ochorenie, pri ktorom je zvyčajne potrebná liečba už od narodenia.

Závažnosť ochorenia a symptómy (A0005, A0006, H0200) [1]

Nedostatok koagulačného faktora vedie k nadmerným prejavom krvácanosti po minimálnych úrazoch, poraneniach, pri extrakcii zubov a po operáciách. U hemofilikov s ťažkým stupňom hemofílie (aktivita FVIII < 1 %) dochádza aj k spontánnemu krvácaniu, ktoré sa objavuje bez akejkoľvek vyvolávajúcej príčiny. Vnútorné krvácanie sa najčastejšie vyskytuje do svalov a kĺbov najmä členkov, kolien a laktfov. Krvácanie do svalov môže viesť k bolestivým cystám alebo pseudotumorom, ktoré si často vyžadujú chirurgické odstránenie a sú spojené s bolesťou, neurologickými deficitmi, až stratou funkcie postihnutej končatiny.

Krvácanie do kĺbov, ktoré spôsobuje výraznú bolesť a morbiditu, môže viesť k predĺženej hospitalizácii a dlhodobej invalidite. Poškodenie kĺbov z opakovaných epizód krvácania má za následok chronickú artropatiu, stav zahŕňajúci akútnu bolesť, degeneráciu kĺbov, opuchy a stratu mobility. Viac ako 80 % mužov s ťažkým stupňom hemofílie uvádza, že majú aspoň jeden bolestivý kĺb.

Intrakraniálne krvácanie je potenciálne život ohrozujúca udalosť, ktorá sa vyskytuje každý rok približne u dvoch percent pacientov s hemofiliou A. Opakované intrakraniálne krvácania môžu viesť k zvýšenému intrakraniálnemu tlaku, čo prispieva k strate alebo zhoršeniu kognície, zraku, reči alebo lokomocie v závislosti od postihnutej časti mozgu.

V období od začiatku 20. storočia do roku 1980, pred vypuknutím vírusových epidémií, sa priemerná dĺžka života pacientov s hemofíliou v rozvinutých krajinách zvýšila zo 16 rokov na 60 rokov. Zlepšenie priemernej dĺžky života počas tohto obdobia odrážalo rozširujúcu sa dostupnosť rôznych terapeutických možností náhrady FVIII. V 80. a 90. rokoch 20. storočia došlo k zvýšeniu mortality hemofilikov v dôsledku prenosu rôznych infekcií, ako sú infekcie spôsobené vírusom ľudskej imunodeficiencie (HIV) a hepatitídou C, prostredníctvom infikovaných koncentrátov získaných z plazmy (vrátane kryoprecipitátu). Prelom v liečbe hemofílie A nastal príchodom nových, bezpečnejších foriem liečby (rekombinantných FVIII) v nasledujúcich desaťročiach.

3.1.3. Cesta pacienta

Cesta pacienta s predmetným ochorením (A0024, A0025) [1]

Liečba pacientov s hemofíliou A spočíva v substitučnej liečbe koncentrátmi FVIII. Toto sa uskutočňuje aplikáciou konvenčných preparátov FVIII vyrobených z ľudskej plazmy (pdFVIII) alebo rekombinantnou technológiou (rFVIII), ktoré sú podávané intravenózne priamo do žily pacienta. S dostatočnou liečbou a riadnou starostlivosťou môžu ľudia s hemofíliou žiť plnohodnotný život tak ako iní zdraví ľudia. Produkty rFVIII sa rozdeľujú na štandardné produkty rFVIII so štandardným polčasom rozpadu (SHL), a produkty rFVIII s predĺženým polčasom rozpadu (extended half-life - EHL), kam patria fúzne rFVIII a pegylované rFVIII (15). Alfaoktokog (liečivo obsiahnuté v lieku Advate) patrí do skupiny rFVIII SHL.

Dva základné prístupy k liečbe hemofílie A sú: 1) liečba on-demand a 2) profylaxia. Liečba on-demand znamená podávanie koncentrátov FVIII v reakcii na krvácanie. Liečba sa optimálne začína pri najskorších príznakoch krvácania s dávkou FVIII a trvaním liečby v závislosti od lokalizácie a závažnosti krvácania. U pacientov bez profylaxie sa ročný výskyt prelomových krvácaní pohybuje na úrovni 35 epizód. Liečba on-demand sa preto považuje skôr za reaktívny než proaktívny prístup.

Cieľom profylaxie je dosiahnuť a udržať kontinuálne hladiny FVIII porovnateľné s hladinami u pacientov so stredne ťažkou hemofíliou (t.j. > 1 %). Profylaxia môže byť „primárna“ alebo „sekundárna“ v závislosti od začiatku liečby. Primárna profylaxia sa typicky začína na začiatku ochorenia bezprostredne po prvom krvácaní do kĺbu, často pred dosiahnutím veku 2 rokov a pred rozvojom hemartrózy. Naproti tomu sekundárna profylaxia sa zvyčajne zavedie neskôr v živote po výskyte významného alebo opakovaného krvácania do kĺbov.

3.2. Opis a technické vlastnosti technológie

Opis a technické vlastnosti technológie (TEC)	
Element ID	Výskumná otázka
B0001	Čo je predmetná technológia a aké má komparátory?
B0004	Kto administruje predmetnú technológiu a komparátory a v akom kontexte je starostlivosť poskytovaná?
B0008	Aké prostredie je potrebné na použitie predmetnej technológie a komparátorov?
B0002	Čo je očakávaný prínos predmetnej technológie v porovnaní s komparátormi?
A0020	Pre ktoré indikácie má predmetná technológia trhovú autorizáciu alebo CE označenie?
A0001	Pre ktoré indikácie je predmetná technológia používaná?
A0021	Aký je status úhrady predmetnej technológie v hodnotenej indikácii v Anglicku, Škótsku a Českej republike? Akú úroveň úhrady navrhuje DR pre hodnotenú indikáciu na Slovensku?

3.2.1. Vlastnosti technológie

Predmetná technológia a komparátory (B0001) [1]

Komplex faktora VIII/von Willebrandovho faktora sa skladá z dvoch molekúl (faktor VIII a von Willebrandov faktor) s odlišnými fyziologickými funkciami. Liek Advate obsahuje rFVIII (alfaoktokog), glykoproteín ktorý je biologicky rovnocenný s glykoproteínom faktora VIII obsiahnutým v ľudskej plazme. Získava sa bez pridania zložiek ľudskej alebo zvieracej plazmy.

Alfaoktokog je glykoproteín skladajúci sa z 2 332 aminokyselín s molekulárnou hmotnosťou približne 280 kD. Alfaoktokog sa pri podávaní infúziou pacientovi s hemofíliou viaže v krvnom obehú na endogénny von Willebrandov faktor. Aktivovaný faktor VIII pôsobí ako kofaktor pre aktivovaný faktor IX, urýchľujúci konverziu faktora X na aktivovaný faktor X. Aktivovaný faktor X premieňa protrombín na trombín. Trombín následne premieňa fibrinogén na fibrín a môže sa vytvoriť krvná zrazenina. Plazmatické hladiny faktora VIII sa substitučnou liečbou zvyšujú, čo umožňuje dočasnú úpravu nedostatku faktora VIII a úpravu sklonu ku krvácaniu-

Administrácia technológie – personál a priestory (B0004, B0008)

Liek Advate sa podáva intravenóznou cestou. V prípade, že liek nepodáva zdravotnícky pracovník je nutné jeho náležité zaškolenie. Rýchlosť podávania sa má ustáliť podľa toho, ako to pacientovi najviac vyhovuje a smie dosiahnuť maximálne 10 ml/min.

Predpokladaný prínos technológie (B0002)

Liek Advate predstavuje rutinne používanú liečebnú alternatívu u pacientov s hemofíliou A v slovenskej klinickej praxi. Liek Advate je centrálné nakupovaný zdravotným poisťovňami.

Liek Advate je zaradený v zozname kategorizovaných liekov v injekčných liekovkách s obsahom 250 IU, 500 IU, 1000 IU a 1500 IU a jeho žiadosť ID B02BD02 žiada o

kategorizovanie nových síl lieku Advate (2000 IU a 3000 IU). Držiteľ registrácie predpokladá, že rozšírením spektra dostupných síl lieku Advate sa znížením počtu injekčných liekoviek potrebných na jedno podanie a znížením objemu infúzneho roztoku zvýši pohodlie pre pacientov. Rozšírenie dostupnosti rôznych síl lieku Advate môže tiež zlepšiť presnosť dávkovania, ako aj dodržiavanie liečebných režimov predpísaných lekárom

Registrácia technológie (A0020) [1]

Dátum prvej registrácie lieku Advate je 03/2004 a dátum posledného predĺženia registrácie je 12/2013.

Navrhovaná indikácia (A0001) [1]

Liek Advate je registrovaný vo všetkých vekových skupinách na indikáciu liečba a profylaxia krvácania u pacientov s hemofíliou A (vrodený nedostatok faktora VIII). Indikácia je totožná s EMA indikáciou.

Požadovaná úhrada (A0021) [1]

V rámci hodnotenej žiadosti DR navrhuje úhradu za 2000 IU a 3000 IU nasledovne (viď tabuľka 2 a 3)

Tabuľka 2: Navrhovaná úhrada za liek Advate v silách 2000 IU a 3000 IU

ATC/ ŠÚKL	Názov	Doplnok	ŠDL/ nŠDL	ÚZP2/ ÚZP
B02BD02	Koagulačný faktor VIII.	parent. rekomb. 2000 IU (alfaktokog)	500	291,273 €
8646B	ADVATE 2000 IU prášok a rozpúšťadlo na injekčný roztok	plv iol 1x2000 IU+1x5 ml solv.	4,000	1 165,09 €
B02BD02	Koagulačný faktor VIII.	parent. rekomb. 3000 IU (alfaktokog)	500	291,273 €
8647B	ADVATE 3000 IU prášok a rozpúšťadlo na injekčný roztok	plv iol 1x3000 IU+1x5 ml solv. (liek.inj.skł.+liek.inj.skł.+ zabud. v pom.na rekonšt.)	6,000	1 747,64 €

Tabuľka 3: Porovnanie nákladov na liečbu jedného pacienta liekom Advate pri kombinácií viacerých liekoviek s cieľom dosiahnutia požadovanej dávky a pri použití jednej liekovky s obsahom 2000 IU resp. 3000 IU – aktuálne platná úhrada k 1.2.2022

Liečivo	ÚZP2	ÚZP	Obsah IU	Počet balení/ podanie	Náklad na 1 podanie
Alfaktokog 1000 IU*	291,290 €	582,58 €	1000	2+	1 165,160 €
Advate 2000 IU	291,273 €	1 165,09 €	2000	1	1 165,090 €
Rozdiel	-0,017 €				-0,070 €
Alfaktokog 1500 IU**	291,290 €	873,87 €	1500	2+	1 747,740 €
Advate 3000 IU	291,273 €	1 747,64 €	3000	1	1 747,640 €
Rozdiel	-0,017 €				-0,100 €

* Vzhľadom na rovnakú ÚZP2 pre alfaktokog vo všetkých silách (250 IU, 500 IU, 1000 IU a 1500 IU) sú náklady na jedno podanie rovnaké, nezávisle od použitých kombinácií síl, tj. 2 x 1000 IU, 1500 IU + 500 IU, 4 x 500 IU atď.

4. Hodnotenie klinického prínosu

4.1. Sumár hodnotenia klinického prínosu

Liek Advate je zaradený v zozname kategorizovaných liekov v injekčných liekovkách s obsahom 250 IU, 500 IU, 1000 IU a 1500 IU a jeho žiadosť ID B02BD02 žiada o kategorizovanie nových síl lieku Advate (2000 IU a 3000 IU). Z tohto dôvodu neprebehlo štandardné hodnotenie klinického prínosu, keďže DR už dôkaz o klinickom prínose predkladal pri svojom predošlom zaradení nižších síl.

Stotožňujeme sa s názorom DR o prínose nových síl lieku Advate. Z dôvodu individuálneho dávkovania lieku Advate v závislosti od telesnej hmotnosti pacienta a závažnosti ochorenia považujeme rozšírenie spektra dostupných síl koagulačných faktorov VIII zjednodušujúcim faktorom pre podávanie liečby tým pacientom, ktorí potrebujú dávku 2000 IU alebo 3000 IU. Nebude tak potrebné kombinovať viacero liekoviek s rôznym obsahom.

4.2. Klinická účinnosť

4.2.1. Hodnotené ukazovatele

NA

4.2.2. Zahrnuté klinické štúdie

Opis štúdií

NA

Opis populácie

NA

4.2.3. Výsledky

Mortalita (D0001)

NA

Morbidita (D0005, D0006, D0011)

NA

Kvalita života (D0012, D0013)

NA

4.3. Bezpečnosť

4.3.1. Hodnotené ukazovatele

NA

4.3.2. Zahrnuté klinické štúdie

Opis štúdií

NA

Opis populácie

NA

4.3.3. Výsledky

Komparatívna bezpečnosť (C0008)

NA

Administrácia a škoda na zdraví pacienta (C0002, C0004, C0007)

NA

4.4. Diskusia k hodnoteniu klinickému prínosu

4.4.1. Sumár výsledkov a ich interpretácia

NA

4.4.2. Validita klinických dát

Interná validita

NA

Externá validita

NA

4.4.3. Prebiehajúce štúdie

NA

4.4.4. Limitácie hodnotenia

NA

5. Ekonomické hodnotenie

5.1. Sumár ekonomického hodnotenia

Liek Advate je zaradený v zozname kategorizovaných liekov v injekčných liekovkách s obsahom 250 IU, 500 IU, 1000 IU a 1500 IU a jeho žiadosť ID B02BD02 žiada o kategorizovanie nových síl lieku Advate (2000 IU a 3000 IU). Z tohto dôvodu neprebehlo štandardné ekonomické hodnotenie, keďže DR už dôkaz o nákladovej efektívnosti predkladal pri svojom predošlom zaradení nižších síl.

Príchod nových síl (2000 IU a 3000 IU) tak nepredstavuje nové náklady pre verejné zdravotné poistenie, naopak má potenciál marginálneho šetriaceho účinku skrze redukovanie potreby kombinovať viacero liekoviek s rôznym obsahom.

5.1.1. Hodnotenie vstupov a fungovania predloženého farmako-ekonomického modelu (E0012, E0013)

Popis farmako-ekonomického modelu

NA

Údaje o pacientoch a základné nastavenia modelu

NA

Údaje o účinnosti a bezpečnosti

NA

Projektovanie dlhodobého prínosu

NA

Údaje o kvalite života

NA

Náklady

NA

Dalšie aspekty modelu

NA

Analýza senzitivity

NA

5.1.2. Hodnotenie výsledkov farmako-ekonomického modelu (E0006)

NA

5.1.3. Záver hodnotenia nákladovej efektívnosti

NA

5.2. Hodnotenie analýzy dopadu na rozpočet

5.2.1. Hodnotenie predloženej analýzy dopadu na rozpočet (G0007)

NA

5.2.2. Výsledok hodnotenia výšky dopadu na rozpočet

NA

5.2.3. Záver analýzy

NA

6. Etické, organizačné, sociálno-pacientske a právne aspekty

6.1. Sumár etickej, organizačnej, sociálno-pacientskej a právnej analýzy

Liek Advate je zaradený v zozname kategorizovaných liekov v injekčných liekovkách s obsahom 250 IU, 500 IU, 1000 IU a 1500 IU a jeho žiadosť ID B02BD02 žiada o kategorizovanie nových síl lieku Advate (2000 IU a 3000 IU). Z tohto dôvodu neprebehla štandardná etická, organizačná, sociálno-pacientska a právna analýza.

Stotožňujeme sa s názorom DR o prínose nových síl lieku Advate, ktoré majú potenciál uľahčiť užívanie lieku Advate pacientom, ktorí potrebujú dávku 2000 IU alebo 3000 IU bez potreby kombinovania viacerých liekoviek s rôznym obsahom.

Autori

Vedúci projektu: MA. Michal Staňák, Dr.phil, AKC
Autori: 1. MA. Michal Staňák, Dr.phil, AKC
2. MUDr. Matej Palenčár

Korešpondencia

Národný inštitút pre hodnotu a technológie v zdravotníctve
Zámocké schody 2/A, 811 01, Bratislava
kancelaria@niho.sk

Toto hodnotenie má byť citované nasledovne

Staňák M., Palenčár M., Liečivo Alfaoktokog (Advate) na profylaxiu a liečbu krvácajúcich stavov spôsobených vrodeným nedostatkom faktoru VIII (okrem von Willebrandovej choroby), Hodnotenie pre Kategorizačnú komisiu číslo 04/2022 , 2022, Bratislava: NIHO.

Konflikt záujmov

Všetci autori, ktorí sa podieľali na tvorbe tohto hodnotenia, vyhlásili, že nemajú žiadny konflikt záujmov vo vzťahu k predmetnej technológii v súlade formulárom konfliktu záujmov od EUnetHTA (<https://www.eunetha.eu/wp-content/uploads/2019/11/Declaration-of-Interest-DOI-Form.pdf?x37933>). To napríklad značí, že na chod svojej inštitúcie nepoberajú finančné príspevky na úrovni 40% a viac zo strojov farmaceutických firiem, ktoré by ich mohli dať do konfliktu záujmov k predmetnému hodnoteniu.

Vyhlásenie

NIHO je zodpovedné za chyby, ktoré mohli v hodnotení nastať. Za konečnú verziu a odporúčanie plne zodpovedá NIHO.

Pri tvorbe obsahu a/alebo štruktúry tohto hodnotenia bol použitý HTA Core Model®, vyvinutý v rámci EUnetHTA (www.eunetha.eu). Nasledujúca verzia modelu bola použitá: [3.0]. Používanie Core Modelu nezaručuje presnosť, úplnosť, kvalitu alebo užitočnosť akýchkoľvek informácií alebo služieb vytvorených alebo poskytovaných použitím modelu.

Zadanie hodnotenia prebehlo na základe zákonných povinností NIHO vyplývajúcich zo zákona 358/2021 Z.z.

7. Zdroje

[1] DR; Farmako-ekonomický rozbor lieku Advate a jeho prílohy; ID konania B02BD02;
<https://kategorizacia.mzsr.sk/Lieky/Common/Details/23806>.