

**SIŪLOMO ĮRAŠYTI Į KOMPENSAVIMO SĄRAŠUS VAISTINIO PREPARATO
FARMAKOEKONOMINĖS VERTĖS NUSTATYMO
PROTOKOLAS**

2019-04-01
(data)

Vilnius
(sudarymo vieta)

Vertinimas

pirminis
patikslintas 2019-03-19; Nr. (1.2.10.4-25)10-1917

Paskutinio vertinimo protokolo, kuris tikslinamas, data ir Nr.

I. DUOMENYS APIE PARAIŠKĄ

1.1	Paraiškos registracijos data ir numeris	2019-01-14; 9-862
1.2	Pareiškėjas	AOP ORPHAN PHARMACEUTICALS AG ATSTOVYBĖ BALTIJOS ŠALIMS
1.3	Vaistinio preparato gamintojas	Bioprojet Pharma

II. DUOMENYS APIE VAISTINĮ PREPARATĄ

2.1	Vaistinio preparato bendrinis pavadinimas	Pitolisantum		
2.2	Vaistinio preparato ATC kodas	N07XX11		
2.3	Vaistinio preparato pavadinimas	Wakix		
2.4	Vaistinio preparato forma	Vaistinio preparato stiprumas	Vaistinio preparato dozuočių skaičius pakuotėje	
2.4.1	Plėvele dengtos tabletės	4,5 mg	N30	

III. DUOMENYS APIE KOMPENSAVIMO SĄLYGAS

3.1	Kompensavimas	Ligų ir kompensuojamųjų vaistinių preparatų joms gydyti sąrašas (A sąrašas) <input checked="" type="checkbox"/> Centralizuotai apmokamų vaistinių preparatų sąrašas <input type="checkbox"/>		
3.2	Kompensavimo lygmuo	100 proc. <input checked="" type="checkbox"/> 80 proc. <input type="checkbox"/>	90 proc. <input type="checkbox"/> 50 proc. <input type="checkbox"/>	
3.3	Prašomos kompensuoti indikacijos pavadinimas*	Indikacijos pagal TLK-10-AM kodas ir pavadinimas		Papildomi apribojimai ir sąlygos
3.3.1	Narkolepsija su katalepsija ar be jos	G47.4	Narkolepsija ir katalepsija	

*Duomenys pagal paraišką įrašyti vaistinį preparatą į kompensavimo sąrašus

- Pareiškėjo pateikta farmakoekonominė analizė **neturi** trūkumų
 Pareiškėjo pateikta farmakoekonominė analizė **turi** trūkumų

Farmakoekonominė nauda nustatoma tik tuo atveju, jei farmakoekonominė analizė neturi esminių trūkumų. Esminiais trūkumais laikomi 6.2, 6.3.1 ir 6.3.2 papunkčiuose nurodyti farmakoekonominės analizės trūkumai.

Farmakoekonominės analizės aprašymas

6.1	Indikacija	Narkolepsija su katalepsija ar be jos
6.2	Gydymo rezultatų pagrįstumas ir šaltiniai	<p>HARMONY I (2013). Dvigubai aklas, atsitiktinių imčių, daugiacentris, 8 savaičių trukmės, vaistu Modafinilum (Lietuvoje neregistruotas) ir placebo kontroliuojamas, paralelinių grupių tyrimas, pritaikant lankstų dozavimą. Tyrime dalyvavo 95 pacientai sergantys narkolepsija su katalepsija ar be jos. Pacientams santykiu 1:1:1 buvo paskirtas gydymas Pitolisantum, Modafinilum arba placebo. Pirminis vertinimo rodiklis buvo Epworth mieguistumo skalės (ESS) balų pokytis (angl. Epworth Sleepiness Scale, ESS) lyginant su placebo. Daroma išvada, kad Pitolisantum yra efektyvus ir saugus vaistas narkolepsijos su katalepsija ar be jos gydymui sumažinant pernelyg didelį mieguistumą dieną (EDS) ir yra nauja gydymo galimybė narkolepsija sergantiems pacientams. Taip pat Pitolisantum buvo geriau toleruojamas, negu Modafinilum.</p> <p>HARMONY CTP (2017). Dvigubai aklas, atsitiktinių imčių, daugiacentris, placebo kontroliuojamas, paralelinių grupių, 7 savaičių trukmės tyrimas. 106 pacientams sergantiems narkolepsija ir kuriems dažnai pasireiškia katalepsija, santykiu 1:1 buvo paskirtas gydymas Pitolisantum arba placebo. Pirminis vertinimo rodiklis buvo vidutinio katalepsijos priepuolių skaičiaus per savaitę (WCR) pokytis. Vertinant pirminę veiksmingumo vertinamąją baigtį, savaitinį katalepsijos priepuolių rodiklį (angl. Weekly Rate of Cataplexy episodes, WRC), gydymo Pitolisantum rezultatai buvo reikšmingai geresni nei gydymo placebo grupės ($p < 0,0001$), su laipsnišku 64% mažėjimu lyginant pradinius ir gydymo pabaigos rodiklius. Daroma išvada, kad Pitolisantum yra efektyvus ir saugus narkolepsijos su katalepsija ar be jos gydyme sumažinant katalepsijos priepuolių dažnį ir yra nauja gydymo galimybė tokiems pacientams.</p> <p>HARMONY III (2018). Atviras, daugiacentris tyrimas vertinantis ilgalaikį (iki 5 metų) Pitolisantum saugumą ir efektyvumą gydant pacientus, sergančius narkolepsija. Tyrimas dar nebaigtas.</p>
		(Nurodyti argumentus)
		Tinkamai <input checked="" type="checkbox"/> Netinkamai <input type="checkbox"/>
6.3	Ekonominio modelio prielaidos ir pradiniai duomenys	
6.3.1	Pasirinkta farmakoekonominės analizės rūšis	<p>Kaštų minimizavimas <input type="checkbox"/> Kaštų efektyvumas <input checked="" type="checkbox"/> Kaštų naudingumas <input type="checkbox"/></p> <p>Kaštų efektyvumo analizėje buvo vertinami gydymo kaštai už vieną papildomą sėkmingą gydymą (pagal ESS atsaką į gydymą) ir už išvengtą katalepsijos priepuolį skiriant gydymą Pitolisantum lyginant su placebo.</p>
		(Nurodyti argumentus)
		Tinkamai <input checked="" type="checkbox"/> Netinkamai <input type="checkbox"/>
6.3.2	Pasirinktos lyginamosios alternatyvos	Placebo, kadangi narkolepsijos su katalepsija ar be jos gydymui nėra jokio kompensuojamo gydymo.

		(Nurodyti argumentus) Tinkamai <input checked="" type="checkbox"/> Netinkamai <input type="checkbox"/>																					
6.3.3	Pasirinktų alternatyvų gydymo dozė, paslaugos, trukmė ir kainos	<p>Vaisto bazinė kaina apskaičiuota pagal teisės aktuose nustatytą tvarką remiantis vaisto registruotojo nurodyta gamintojo taikomą kainą Lietuvai ir ES šalyse.</p> <p>Pitolisantum (Wakix) dozavimas: Atsižvelgiant į kiekvieno paciento organizmo reakciją ir vaistinio preparato toleravimą, turi būti vartojama mažiausia Wakix dozė pagal titravimo (laipsniško dozės didinimo) schemą ir dozė negali viršyti 36 mg per parą.</p> <ul style="list-style-type: none"> - 1 savaitė: pradinė 9 mg (dvi 4,5 mg tabletės) paros dozė. - 2 savaitė: dozė gali būti padidinta iki 18 mg (vienos 18 mg tabletės) per parą arba sumažinta iki 4,5 mg (viena 4,5 mg tabletė) per parą. - 3 savaitė: dozė gali būti padidinta iki 36 mg (dviejų 18 mg tablečių) per parą. 																					
		<p>(Nurodyti argumentus)</p> <table style="width: 100%; border-collapse: collapse;"> <thead> <tr> <th style="width: 70%;"></th> <th style="width: 15%; text-align: center;">Tinkamai</th> <th style="width: 15%; text-align: center;">Netinkamai</th> </tr> </thead> <tbody> <tr> <td>Nepakankamas vertinimo laikotarpis</td> <td style="text-align: center;"><input checked="" type="checkbox"/></td> <td style="text-align: center;"><input type="checkbox"/></td> </tr> <tr> <td>Vaistų ar gydymo paslaugų kaina</td> <td style="text-align: center;"><input checked="" type="checkbox"/></td> <td style="text-align: center;"><input type="checkbox"/></td> </tr> <tr> <td>Vaistų dozavimas ir trukmė</td> <td style="text-align: center;"><input checked="" type="checkbox"/></td> <td style="text-align: center;"><input type="checkbox"/></td> </tr> <tr> <td>Gydymo paslaugų apimtys ir trukmė</td> <td style="text-align: center;"><input checked="" type="checkbox"/></td> <td style="text-align: center;"><input type="checkbox"/></td> </tr> <tr> <td>Kiti kaštai</td> <td style="text-align: center;"><input checked="" type="checkbox"/></td> <td style="text-align: center;"><input type="checkbox"/></td> </tr> <tr> <td>Pacientų skaičius</td> <td style="text-align: center;"><input type="checkbox"/></td> <td style="text-align: center;"><input type="checkbox"/></td> </tr> </tbody> </table>		Tinkamai	Netinkamai	Nepakankamas vertinimo laikotarpis	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	Vaistų ar gydymo paslaugų kaina	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	Vaistų dozavimas ir trukmė	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	Gydymo paslaugų apimtys ir trukmė	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	Kiti kaštai	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	Pacientų skaičius	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
	Tinkamai	Netinkamai																					
Nepakankamas vertinimo laikotarpis	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>																					
Vaistų ar gydymo paslaugų kaina	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>																					
Vaistų dozavimas ir trukmė	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>																					
Gydymo paslaugų apimtys ir trukmė	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>																					
Kiti kaštai	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>																					
Pacientų skaičius	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>																					
6.4	Gydymo rezultatai	<p>Siekiant įvertinti Pitolisantum veiksmingumą gydant pernelyg didelį mieguistumą dieną (angl. Excessive Daytime Sleepiness, EDS), kaip pagrindinis veiksmingumo kriterijus buvo naudojamas ESS rezultatas pagal Epworth mieguistumo skalę (angl. Epworth Sleepiness Scale). HARMONY I (2013) tyrimo duomenimis ESS atsakas skiriant Pitolisantum buvo nustatytas 45% (14 iš 31) pacientų ir skiriant placebo ESS atsakas buvo nustatytas 13% (4 iš 30) pacientų, $p < 0,0006$.</p> <p>HARMONY CTP (2017) tyrimo duomenimis ESS atsakas skiriant Pitolisantum buvo nustatytas 39% (20 iš 51) pacientų ir skiriant placebo ESS atsakas buvo nustatytas 18% (9 iš 50) pacientų, $p = 0,035$. Išvestiniais abiejų tyrimų duomenimis skiriant gydymą Pitolisantum atsakas buvo nustatytas 41,46% (34 iš 82) pacientų ir skiriant placebo 16,25% (13 iš 80) pacientų.</p>																					
		<p style="text-align: center;">(Pasirinktas vertinimo rodiklis, jo atitiktis terapijos tikslams)</p> <p style="text-align: center;">Tinkamai <input checked="" type="checkbox"/> Netinkamai <input type="checkbox"/></p>																					
6.5	Kaštai	<p>1 paciento 1 metų gydymo kaina vartojant vidutinę paros dozę 18 mg būtų apie 4,6 tūkst. Eur.</p>																					
		<table style="width: 100%; border-collapse: collapse;"> <thead> <tr> <th style="width: 60%;"></th> <th style="width: 20%; text-align: center;">Įvertinti</th> <th style="width: 20%; text-align: center;">Neįvertinti</th> </tr> </thead> <tbody> <tr> <td>Medikamentinio gydymo</td> <td style="text-align: center;"><input checked="" type="checkbox"/></td> <td style="text-align: center;"><input type="checkbox"/></td> </tr> <tr> <td>Nemedikamentinio gydymo</td> <td style="text-align: center;"><input type="checkbox"/></td> <td style="text-align: center;"><input checked="" type="checkbox"/></td> </tr> <tr> <td>Nemedicininiai kaštai</td> <td style="text-align: center;"><input type="checkbox"/></td> <td style="text-align: center;"><input checked="" type="checkbox"/></td> </tr> </tbody> </table> <p>Patiriami kaštų vertinami:</p>		Įvertinti	Neįvertinti	Medikamentinio gydymo	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	Nemedikamentinio gydymo	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	Nemedicininiai kaštai	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>									
	Įvertinti	Neįvertinti																					
Medikamentinio gydymo	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>																					
Nemedikamentinio gydymo	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>																					
Nemedicininiai kaštai	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>																					
		<p>(Nurodyti argumentus) Tinkamai <input checked="" type="checkbox"/> Netinkamai <input type="checkbox"/></p>																					
6.6	Gydymo rezultatų ir kaštų ryšys (ar įvertinami visi kaštai gydymo rezultatams pasiekti)	<p>Išvestiniais dviejų tyrimų (HARMONY I (2013) ir HARMONY CTP (2017)) duomenimis skiriant gydymą Pitolisantum sėkmingas gydymas (atsakas į gydymą) buvo nustatytas 41,46% pacientų ir skiriant placebo – 16,25% pacientų, skirtumas 25,21%.</p> <p>Atlikus kaštų efektyvumo analizę nustatyta, kad kompensuojant Pitolisantum narkolepsijos su katalapsija ar be jos gydymui, vienas sėkmingas gydymas kainuotų apie 18,4 tūkst. eurų.</p>																					
		(Nurodyti argumentus)																					

		Tinkamai <input checked="" type="checkbox"/> Netinkamai <input type="checkbox"/>
6.7	Analizės pakartojamumas	Analizė yra pakartojama (Nurodyti argumentus) Galimas <input checked="" type="checkbox"/> Negalimas <input type="checkbox"/>
6.8	Analizės tinkamumas vertinti	Analizė tinka vertinti (Nurodyti argumentus) Tinkamai <input checked="" type="checkbox"/> Netinkamai <input type="checkbox"/>
6.9	Analizės rezultatai	Šiuo metu narkolepsijai gydyti nėra kompensuojami vaistiniai preparatai, todėl Wakix kompensavimas didintų PSDF biudžeto lėšas.
6.10	Analizės rezultatų vertinimas ir išvada	Farmakoekonominė nauda neįrodyta (Analizės rezultato / rodiklio kokybinis vertinimas ir palyginimas su ribinėmis vertėmis)

- Įrodyta didesnė farmakoekonominė nauda negu alternatyvaus gydymo (nesant alternatyvaus gydymo – lyginant su gydymo netaikymu) ir farmakoekonominė analizė neturi trūkumų arba turi neesminius trūkumus – 4,5 balo;
- farmakoekonominė nauda panaši kaip ir alternatyvaus gydymo (nesant alternatyvaus gydymo – lyginant su gydymo netaikymu) ir farmakoekonominė analizė turi neesminius trūkumus – 3 balai;
- neįrodyta didesnė ar panaši farmakoekonominė nauda ir farmakoekonominė analizė turi neesminių trūkumų – 1,5 balo.

VII. PAPILDOMA INFORMACIJA, SUSIJUSI SU FARMAKOEKONOMINĖS NAUDOS VERTINIMU

Užsienio šalių sveikatos apsaugos technologijų vertinimo agentūrų rekomendacijos

7.1	Informacijos šaltinis ir nuoroda	Išvada
7.1.1	SMC	Nerekomenduoja, nes gamintoja nepateikė pakankamai informacijos
7.1.2	NICE	Nėra publikacijų

VIII. FARMAKOEKONOMINĖS VERTĖS NUSTATYMO IŠVADA

Farmakoekonominė vertė balais – 4,5 balo

Komentaras

(pareigos)

(parašas)

(vardas, pavardė)