

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

2019-01-29
(data)

Vilnius
(sudarymo vieta)

Vertinimas

pirminis
patikslintas 2018-10-04 Nr. (10.3.2.1)10-7196

Paskutinio vertinimo protokolo, kuris tikslinamas, data ir Nr.

I. DUOMENYS APIE PARAIŠKĄ

1.1	Paraiškos registracijos data ir numeris	2018-05-18; 9-9879
1.2	Pareiškėjas	SIA „Novartis Baltics“ Lietuvos filialas
1.3	Vaistinio preparato gamintojas	Novartis Europharm Limited

II. DUOMENYS APIE VAISTINĮ PREPARATĄ

2.1	Vaistinio preparato bendrinis pavadinimas	Midostaurin		
2.2	Vaistinio preparato ATC kodas	L01XE39		
2.3	Vaistinio preparato pavadinimas	Rydapt		
2.4	Vaistinio preparato forma	Vaistinio preparato stiprumas	Vaistinio preparato dozuočių skaičius pakuotėje	
2.4.1	Minkštosios kapsulės	25 mg	56	

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	suaugusiems pacientams, kurie serga naujai diagnozuota ūmine mieloidine leukemija (ŪML) ir kuriems nustatyta FLT3 mutacija	C92.0	Ūminė mieloblastinė leukemija	vertoti derinyje su įprastine indukcinė chemoterapija daunorubicinu ir citarabinu bei konsoliduojančiąja chemoterapija didelėmis citarabino dozėmis, pacientams, kuriems pasiekta pilna remisija, vėliau tęsiant palaikomąjį gydymą vien Rydapt, suaugusiems pacientams, kurie serga naujai diagnozuota ūmine mieloidine leukemija (ŪML) ir kuriems nustatyta FLT3 mutacija

*Duomenys pagal paraišką įrašyti vaistinį preparatą į kompensavimo sąrašus

VI. FARMAKOEKONOMINĖS NAUDOS ĮVERTINIMAS BALAIS

(Pildoma kiekvienai indikacijai atskirai)

- 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	Ūminė mieloidinė leukemija
6.2	Gydymo rezultatų pagrįstumas ir šaltiniai	<p>RATIFY tyrimas</p> <p>RATIFY tyrimas yra 3 fazės randomizuota dvigubai akla klinikinė studija, kurioje tirti jaunesni nei 60 metų pacientai, su naujai diagnozuota ŪML ir FLT3 mutacija. Pacientai randomizuoti, skiriant indukcinį (daunorubicinu/citarabinu) ir konsolidacinį (didelės dozės citarabino) gydymą kartu su midostaurinu arba placebo.</p> <p>Visi pacientai randomizuoti 1:1 santykiu į vieną iš gydymo grupių. Pacientai taip pat išskirti pagal tris bruožus: FLT3-TKD mutacija [n=162 (22,6 proc.)], FLT3-ITD mutacija su alelių santykiu <0,7 [n=341 (47,6 proc.)] ir FLT3-ITD mutacija su alelių santykiu ≥0,7 [n=214 (29,8 proc.)]. Iš viso į tyrimą įtraukti 717 pacientai (360 į midostaurino ir 357 į placebo grupę). Gydymo pabaiga numatyta, jeigu: pacientas atlieka visus studijos protokolo vizitus (suplanuota studijos pabaiga), jeigu nepavykdavo pasiekti pilnos remisijos po 2 indukcinio gydymo kurso (cerebrospinaliniame skystyje būdavo nustatomos leukeminės ląstelės, leukeminių ląstelių pakartotinis padidėjimas iki 1000/μL) arba atkrytis poremsinio gydymo metu.</p> <p>Tyrimo metu nustatytas reikšmingai didesnis bendras išgyvenamumas pacientams midostaurino grupėje (p vertė = 0,0078), rizikos santykis 0,77 (95% PI: 0,63, 0,95). Dokumentuota 171 (47,5 proc.) mirtis midostaurino ir 186 (52,1 proc.) placebo grupėje. Vidutinis bendras išgyvenamumas midostaurino ir placebo grupėse buvo atitinkamai 74,7 ir 25,6 mėnesiai. Bendras išgyvenamumas midostaurino grupėje buvo geresnis pacientų pogrupyje, kuriems nustatyta FLT3-TKD mutacija. Šiems pacientams taip pat vaisto nauda buvo didžiausia, o pacientams su ITD mutacija alelių santykis įtakos rezultatams neturėjo.</p> <p>(Nurodyti argumentus)</p> <p>Tinkamai <input checked="" type="checkbox"/> Netinkamai <input type="checkbox"/></p>
6.3	Ekonominio modelio prielaidos ir pradiniai duomenys	
6.3.1	Pasirinkta farmakoekonominės analizės rūšis	<p>Kaštų minimizavimas <input type="checkbox"/></p> <p>Kaštų efektyvumas <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Kaštų naudingumas <input type="checkbox"/></p> <p>Įvertinama, kiek papildomai gaunama naudos skiriant Midostaurin ir kiek tam rezultatui pasiekti reikėjo papildomų kaštų.</p> <p>(Nurodyti argumentus)</p> <p>Tinkamai <input checked="" type="checkbox"/> Netinkamai <input type="checkbox"/></p>
6.3.2	Pasirinktos lyginamosios alternatyvos	<p>Buvo lyginami gydymo kaštai skiriant gydymą Midostaurin, lyginant su gydymu be jo (kadangi nėra jokių kompensuojamųjų vaistų tokių pacientų gydymui; Citarabinum, su kuriuo buvo lyginama klinikiniame tyrime, Lietuvoje nekompensuojamas)</p> <p>(Nurodyti argumentus)</p> <p>Tinkamai <input checked="" type="checkbox"/> Netinkamai <input type="checkbox"/></p>

6.3.3	Pasirinktų alternatyvų gydymo dozė, paslaugos, trukmė ir kainos	<p>Midostaurino kompensuojama kaina išskaičiuota iš gamintojo taikomos kainos Lietuvai, atsižvelgiant į šiuo metu galiojančią kompensuojamųjų vaistų bazinių kainų apskaičiavimo tvarką.</p> <p>Dozavimas: Midostaurinas skiriamas po 50 mg du kartus per parą, Rydapt skiriamas 8-21-ąją indukcinės ir konsoliduojančiosios chemoterapijos ciklą dienomis, o vėliau palaikomajam gydymui pacientams, kuriems pasiekta pilna remisija, vartojamas vienas vaistinis preparatas kasdien, kol pasireikš ligos atkrytis, iki 12 ciklų, kurių kiekvieno trukmė yra 28 dienos. Šis preparatas skiriamas kombinacijoje kartu su didelės dozės citarabinu ir daunorubicinu, o po to skiriama monoterapija midostaurinu iki ligos progresavimo.</p> <p>Gydymo kurso trukmė iki 12 ciklų</p> <hr/> <p>(Nurodyti argumentus)</p> <table border="0" style="width: 100%;"> <thead> <tr> <th></th> <th style="text-align: center;">Tinkamai</th> <th style="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>Įvertinus RATIFY tyrimo duomenimis ir juos ekstrapolijuojant šioje analizėje, pasiekti geri rezultatai, kurie suteikė papildomai tiek gyvenimo metų, tiek ir kokybiškų gyvenimo metų lyginant su standartiniu gydymu. Vidutinis bendras išgyvenamumas midostaurino ir placebo grupėse buvo atitinkamai 74,7 ir 25,6 mėnesiai.</p> <hr/> <p style="text-align: center;">(Pasirinktas vertinimo rodiklis, jo atitiktis terapijos tikslams)</p> <table border="0" style="width: 100%;"> <tr> <td>Tinkamai</td> <td style="text-align: center;"><input checked="" type="checkbox"/></td> <td>Netinkamai</td> <td style="text-align: center;"><input type="checkbox"/></td> </tr> </table>	Tinkamai	<input checked="" type="checkbox"/>	Netinkamai	<input type="checkbox"/>																	
Tinkamai	<input checked="" type="checkbox"/>	Netinkamai	<input type="checkbox"/>																				
6.5	Kaštai	<p>Gydymas vaistu Rydapt viso gyvenimo laikotarpiu (iki 12 ciklų) kainuoja apie 145,9 tūkst. eurų</p> <hr/> <table border="0" style="width: 100%;"> <thead> <tr> <th></th> <th style="text-align: center;">Įvertinti</th> <th style="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> <hr/> <p>(Nurodyti argumentus)</p> <table border="0" style="width: 100%;"> <tr> <td>Tinkamai</td> <td style="text-align: center;"><input checked="" type="checkbox"/></td> <td>Netinkamai</td> <td style="text-align: center;"><input type="checkbox"/></td> </tr> </table>		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"/>	Tinkamai	<input checked="" type="checkbox"/>	Netinkamai	<input 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"/>																					
Tinkamai	<input checked="" type="checkbox"/>	Netinkamai	<input type="checkbox"/>																				
6.6	Gydymo rezultatų ir kaštų ryšys (ar įvertinami visi kaštai gydymo rezultatams pasiekti)	<p>Gydymas midostaurinu prailgino pacientų gyvenimą 1,67 metais, lyginant su įprastiniu gydymu. Analogiškai gydymas midostaurinu pacientui papildomai suteikė 1,47 QALYs.</p> <p>Kokybiškų gyvenimo metų (QALY) kaina siekia apie 87,3 tūkst. Eur, o papildomų gyvenimo metų – 99,2 tūkst. Eur.</p> <hr/> <p>(Nurodyti argumentus)</p> <table border="0" style="width: 100%;"> <tr> <td>Tinkamai</td> <td style="text-align: center;"><input checked="" type="checkbox"/></td> <td>Netinkamai</td> <td style="text-align: center;"><input type="checkbox"/></td> </tr> </table>	Tinkamai	<input checked="" type="checkbox"/>	Netinkamai	<input type="checkbox"/>																	
Tinkamai	<input checked="" type="checkbox"/>	Netinkamai	<input type="checkbox"/>																				
6.7	Analizės pakartojamumas	<p>Analizė yra pakartojama, duomenys ir jų šaltiniai patikimi</p> <hr/> <p>(Nurodyti argumentus)</p> <table border="0" style="width: 100%;"> <tr> <td>Galimas</td> <td style="text-align: center;"><input checked="" type="checkbox"/></td> <td>Negalimas</td> <td style="text-align: center;"><input type="checkbox"/></td> </tr> </table>	Galimas	<input checked="" type="checkbox"/>	Negalimas	<input type="checkbox"/>																	
Galimas	<input checked="" type="checkbox"/>	Negalimas	<input type="checkbox"/>																				
6.8	Analizės tinkamumas vertinti	<p>Analizė tinkama vertinti</p> <hr/> <p>(Nurodyti argumentus)</p> <table border="0" style="width: 100%;"> <tr> <td>Tinkamai</td> <td style="text-align: center;"><input checked="" type="checkbox"/></td> <td>Netinkamai</td> <td style="text-align: center;"><input type="checkbox"/></td> </tr> </table>	Tinkamai	<input checked="" type="checkbox"/>	Netinkamai	<input type="checkbox"/>																	
Tinkamai	<input checked="" type="checkbox"/>	Netinkamai	<input type="checkbox"/>																				
6.9	Analizės rezultatai	<p>Nors gydymas Midostaurinu suteikia papildomai tiek gyvenimo metų, tiek ir kokybiškų gyvenimo metų lyginant su standartiniu gydymu, tačiau jo kompensavimas didintų PSDF biudžeto išlaidas.</p>																					

6.10	Analizės rezultatų vertinimas ir išvada	Šiuo metu į kompensavimo sąrašus ūminei mieloidinei leukemijai nėra įrašyta jokių vaistinių preparatų. Liga gydoma stacionare. Todėl vaistinio preparato kompensavimo didins PSDF biudžeto išlaidas. 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	Pritaria kompensavimui
7.1.2	NICE	Pritaria kompensavimui
7.1.3		

VIII. FARMAKOEKONOMINĖS VERTĖS NUSTATYMO IŠVADA

Farmakoekonominė vertė balais – 4,5 balo

Komentaras

--