

RELATÓRIO PÚBLICO DE AVALIAÇÃO

KAFTRIO (ELEXACFTOR-TEZACFTOR-IVACFTOR) KALYDECO (IVACFTOR)

Regime de associação para o tratamento da fibrose quística (FQ), em doentes com idades entre 2 e 5 anos, que têm pelo menos uma mutação F508del no gene regulador da condutância transmembranar da fibrose quística CFTR

Avaliação do financiamento ao abrigo do Decreto-Lei n.º 97/2015, de 1 de junho, na sua redação atual.

01/04/2025

Kaftrio (Elexacaftor-tezacaftor-ivacaftor) + Kalydeco (Ivacaftor)

DATA DA DECISÃO DE DEFERIMENTO: 21/03/2025

CARACTERÍSTICAS DO MEDICAMENTO:

DCI (denominação comum internacional): (Ivacaftor + Tezacaftor + Elexacaftor) + Ivacaftor

Nome do medicamento: Kaftrio + Kalydeco

Apresentações:

- Kaftrio – 28 unidades de granulado em saqueta, doseados a 60 mg + 40 mg + 80 mg, n.º registo 5867155;
- Kaftrio – 28 unidades de granulado em saqueta, doseados a 75 mg + 50 mg + 100 mg, n.º registo 5867148;
- Kalydeco - 28 unidades de granulado, doseados a 59.5 mg, n.º registo 5867130;
- Kalydeco - 28 unidades de granulado, doseados a 75 mg, n.º registo 5877832;

Titular da AIM: Vertex Pharmaceuticals (Ireland) Limited

SUMÁRIO DA AVALIAÇÃO

INDICAÇÃO TERAPÊUTICA FINANCIADA: Kaftrio é indicado num regime de associação com ivacaftor para o tratamento da fibrose quística (FQ), em doentes com idades entre os 2 e os 5 anos, que têm pelo menos uma mutação F508del no gene regulador da condutância transmembranar da fibrose quística (CFTR).

RESUMO DA AVALIAÇÃO FARMACOTERAPÊUTICA:

O medicamento Kaftrio (Ivacaftor + Tezacaftor + Elexacaftor) foi sujeito a avaliação para efeitos de financiamento público na seguinte indicação terapêutica:

Kaftrio é indicado num regime de associação com ivacaftor para o tratamento da fibrose quística (FQ), em doentes com idades entre os 2 e os 5 anos, que têm pelo menos uma mutação F508del no gene regulador da condutância transmembranar da fibrose quística (CFTR).

Concluiu-se que a evidência submetida é sugestiva de que o valor terapêutico acrescentado de Ivacaftor + Tezacaftor + Elexacaftor em crianças entre os 2 e os 5 anos, é semelhante ao observado em crianças com idades entre os 6 e os 12 anos e que já foi avaliado, pelo que é recomendado que Ivacaftor + Tezacaftor + Elexacaftor seja financiado na população pediátrica com idades entre os 2 e os 5 anos.

RESUMO DA AVALIAÇÃO ECONÓMICA:

De acordo com as conclusões farmacoterapêutica e farmacoeconómica, e atendendo aos resultados de custo efetividade incremental e do impacto orçamental, depois de negociadas condições para utilização pelos hospitais e entidades do SNS, tendo em atenção as características específicas do medicamento e da doença em causa, admite-se a utilização do medicamento em meio hospitalar.

1. Valor terapêutico acrescentado

Foi avaliado o valor terapêutico acrescentado de elexacaftor-tezacaftor-ivacaftor “num regime de associação com ivacaftor, para o tratamento da fibrose quística (FQ), em doentes com idades entre os 2 e os 5 anos, que têm pelo menos uma mutação F508del no gene regulador da condutância transmembranar da fibrose quística (CFTR)”.

A evidência submetida é sugestiva de que o valor terapêutico acrescentado de elexacaftor-tezacaftor-ivacaftor em crianças entre os 2 e os 5 anos, é semelhante ao observado em crianças com idades entre os 6 e os 12 anos e que já foi avaliado.

Conclui-se que o financiamento de elexacaftor-tezacaftor-ivacaftor para o tratamento da fibrose quística (FQ), em doentes com idades entre os 6 e os 12 anos, que têm pelo menos uma mutação F508del no gene regulador da condutância transmembranar da fibrose quística (CFTR), seja alargado à população pediátrica com idades entre os 2 e os 5 anos.

Estas conclusões baseiam-se nos seguintes factos:

- Um estudo multicêntrico (VX20-445-111), com 24 semanas de duração, de fase 3, de braço único, com duas Partes (Parte A e Parte B), que incluiu 75 crianças com idades entre 2 e 5 anos, com pelo menos 10 Kg de peso corporal, com fibrose quística com pelo menos uma mutação F508del no gene regulador da condutância transmembranar da fibrose quística (Parte B), que receberam elexacaftor + tezacaftor + ivacaftor, e avaliou farmacocinética, segurança, e eficácia, mostrou uma melhoria às 24 semanas na função pulmonar, avaliada pelo teste de LCI_{2,5}, e no cloro do suor. Baseado em 50 doentes (66,7%), até à semana 24, observou-se uma variação absoluta do LCI_{2,5} de -0,83 (IC95% -1,01 a -0,66; p<0,0001). Baseado em 69 doentes (92,0%), até à semana 24, observou-se uma variação absoluta no cloro do suor de -57,9 (IC95% -61,3 a -54,6; p<0,0001).
- Elexacaftor + tezacaftor + ivacaftor foi em geral bem tolerado, tendo mostrado uma toxicidade semelhante à observada nas populações de maior idade.

10. Avaliação económica

Trata-se de uma extensão de indicação terapêutica, que abrange os doentes que têm pelo menos uma mutação F508del no gene regulador da condutância transmembranar da fibrose quística (CFTR), entre os 2 e os 5 anos, e de um medicamento órfão, destinado a uma doença rara, para uma população limitada de doentes. Os resultados de custo-efetividade incremental (RCEI) são muito elevados, não sendo possível atingir valores de RCEI considerados aceitáveis no contexto de outras doenças. A avaliação económica considerou também a análise do impacto orçamental para o SNS. Decorrente da negociação foram acordadas melhores condições para o SNS.

11. Conclusões

Foi avaliado o valor terapêutico acrescentado de elexacaftor-tezacaftor-ivacaftor “num regime de associação com ivacaftor, para o tratamento da fibrose quística (FQ), em doentes com idades entre os 2 e os 5 anos, que têm pelo menos uma mutação F508del no gene regulador da condutância transmembranar da fibrose quística (CFTR)”.

Após análise da evidência conclui-se que existe sugestão de que o valor terapêutico acrescentado de elexacaftor-tezacaftor-ivacaftor em crianças entre os 2 e os 5 anos, é semelhante ao observado em crianças com idades entre os 6 e os 12 anos e que já foi avaliado.

Kaftrio (Elexacaftor-tezacaftor-ivacaftor) + Kalydeco (Ivacaftor)

De acordo com as conclusões farmacoterapêutica e farmacoeconómica, e atendendo aos resultados de custo efetividade incremental e do impacto orçamental, depois de negociadas condições para utilização pelos hospitais e entidades do SNS, tendo em atenção as características específicas do medicamento e da doença em causa, admite-se a utilização do medicamento em meio hospitalar.

O acesso do medicamento ao mercado hospitalar foi objeto de um contrato entre o INFARMED, I.P. e o representante do titular de AIM, ao abrigo do disposto no artigo 6.º do Decreto Lei n.º 97/2015, de 1 de junho, na sua redação atual