

# RELATÓRIO PÚBLICO DE AVALIAÇÃO

## ORKAMBI (LUMACAFITOR-IVACAFITOR)

*Tratamento da fibrose quística (FQ) em doentes com idades entre 1 e 2 anos de idade que são homozigotos para a mutação F508del no gene CFTR*

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

18/12/2024

**DATA DA DECISÃO DE DEFERIMENTO:** 28/11/2024

CARACTERÍSTICAS DO MEDICAMENTO:

**DCI (denominação comum internacional):** Lumacaftor + Ivacaftor

**Nome do medicamento:** Orkambi

**Apresentações:**

- 56 unidades de granulado em saqueta, doseado a 150 mg + 188 mg, nº de registo 5772942;
- 56 unidades de granulado em saqueta, doseado a 100 mg + 125 mg, nº de registo 5772934;
- 56 unidades de granulado em saqueta, doseado a 75 mg + 94 mg, nº de registo 5860747.

**Titular da AIM:** Vertex Pharmaceuticals (Ireland) Limited

SUMÁRIO DA AVALIAÇÃO

**INDICAÇÃO TERAPÊUTICA FINANCIADA:** *Tratamento da fibrose quística (FQ) em doentes com idades entre 1 e 2 anos de idade que são homozigotos para a mutação F508del no gene CFTR.*

**RESUMO DA AVALIAÇÃO FARMACOTERAPÊUTICA:**

O medicamento Orkambi (Lumacaftor + Ivacaftor) foi sujeito a avaliação para efeitos de financiamento público no *tratamento da fibrose quística (FQ) em doentes com idades entre 1 e 2 anos de idade que são homozigotos para a mutação F508del no gene CFTR.*

Concluiu-se que, embora não tenham sido submetidos nenhuns dados de eficácia comparativa nesta população, não existem motivos para pensar que o benefício adicional do tratamento nesta população, possa ser diferente do observado em crianças com mais de 2 anos, pelo que é recomendado que lumacaftor-ivacaftor seja financiado nesta população.

**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 benefício adicional de lumacaftor-ivacaftor para o *tratamento da fibrose quística (FQ) em doentes com idades entre 1 e 2 anos de idade que são homozigotos para a mutação F508del no gene CFTR*.

Concluiu-se que, embora não tenham sido submetidos nenhuns dados de eficácia comparativa nesta população, não existem motivos para pensar que o benefício adicional do tratamento nesta população, possa ser diferente do observado em crianças com mais de 2 anos, pelo que é recomendado que lumacaftor-ivacaftor seja financiado nesta população.

Esta conclusão baseia-se nos seguintes factos:

- Dois estudos de braço único (VX16-809-122 e VX19-809-124), em crianças com idades entre 1 e 2 anos, que são homozigotos para a mutação F508del no gene CFTR, que receberam lumacaftor mais ivacaftor, e que avaliou segurança, não levantaram questões particulares relativas a esta população de crianças com idades entre 1 e 2 anos.
- Em termos de eficácia não foram submetidos nenhuns dados comparativos nesta população.

## 2. Avaliação económica

Trata-se de uma extensão de indicação terapêutica para o tratamento da Fibrose Quística (FQ) em doentes com idades entre 1 e 2 anos de idade, homozigotos para a mutação F508del no gene CFTR, com inclusão de uma nova apresentação para esta indicação.

Importa destacar que é 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 a análise do impacto orçamental para o SNS.

### 3. Conclusões

Foi avaliado o benefício adicional de lumacaftor-ivacaftor para o *tratamento da fibrose quística (FQ) em doentes com idades entre 1 e 2 anos de idade que são homozigotos para a mutação F508del no gene CFTR*.

De acordo com os resultados da avaliação farmacoterapêutica e da avaliação económica, e após análise do impacto orçamental para o SNS, tendo em atenção as características específicas do medicamento e da doença em causa, admite-se a utilização do medicamento em meio hospitalar.

A utilização do medicamento pelos hospitais do SNS 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.