



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 305/2020 z dnia 9 listopada 2020 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną mitoxantronum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego tj. leczenie wznowy ostrej białaczki limfoblastycznej u dzieci

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną mitoxantronum we wskazaniach pozarejestacyjnych: leczenie wznowy ostrej białaczki limfoblastycznej u dzieci.

Uzasadnienie

Stosowanie mitoxantronum we wskazaniach pozarejestacyjnych: leczenie wznowy ostrej białaczki limfoblastycznej u dzieci, było już przedmiotem oceny Rady Przejrzystości w 2017r. z wynikiem pozytywnym.

Obecnie, odnaleziono jedno pierwotne badanie kliniczne, porównujące mitoxantronum z idarubicyną w leczeniu na etapie indukcji (Parker 2019), które stanowi kolejne etapy badania klinicznego ALLR3 (i analizy punktu pierwszorzędowego – ewaluacji MRD), które było przedstawione w opinii z 2017r. Publikacja Parker 2019 zawiera wyniki dla mitoksantronu dla liczniejszej populacji i dłuższego okresu obserwacji niż były opisane we wcześniejszej analizie w zakresie punktów przeżycia bez progresji choroby (PFS) oraz przeżycia całkowitego.

Nie odnaleziono jednak żadnych badań oceniających skuteczność praktyczną, jak również badanie Parker 2019 opisywało głównie wyniki z dalszych etapów leczenia niż indukcyjne (w ramach którego stosowano mitoksantron lub idarubicynę), w grupach stratyfikowanych pod względem poziomu MRD po leczeniu indukcyjnym.

W ramach badania klinicznego ALLR3 zarówno w publikacji Parker 2010, jak i w Parker 2019 wyniki są zgodne pod względem PFS, w obu artykułach wskazano istotną statystycznie przewagę mitoksantron nad idarubicyną. W zakresie OS również mitoksantron miał przewagę nad idarubicyną jednak w tyko w Parker 2010 osiągnięto istotność statystyczną.



Również, 2 rekomendacje kliniczne opublikowane od 2017 roku: Polskiego Towarzystwa Onkologii Klinicznej z 2020 roku (PTOK) oraz National Comprehensive Cancer Network z 2020 roku (NCCN) przewidują mitoksantron jako składową niektórych schematów, będących wymienianymi jako opcje leczenia nawrotowej / odpornej na leczenie ostrej białaczki limfoblastycznej.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2020 r., poz. 357, z późn. zm.), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2020 r., poz. 1398), z uwzględnieniem opracowania nr: OT.4321.2.2020 „Mitoksantron we wskazaniu: leczenie wznowy ostrej białaczki limfoblastycznej u dzieci”, data ukończenia 5 listopada 2020 r.