



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 80/2022 z dnia 16 maja 2022 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną peginterferonum alfa-2a w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną peginterferonum alfa-2a, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj.: C92.1 przewlekła białaczka szpikowa.

Uzasadnienie

Przewlekła białaczka szpikowa jest nieuleczalną chorobą nowotworową układu krwiotwórczego leczoną w pierwszym rzucie inhibitorami kinazy tyrozynowej. Peginterferon jest nieswoiście działającym, stosowanym od dawna lekiem, modyfikującym przebieg szeregu chorób hematologicznych, stosowanym w przewlekłej białaczce szpikowej, w niszowej grupie kobiet w okresie koncepcji oraz w ciąży, a także u chorych niskiego ryzyka, u których podawanie TKI nie jest zalecane z powodu schorzeń współwystępujących, nietolerancji lub przyjmowania innych leków.

Dowody naukowe

Odnaleziono 3 badania randomizowane przeprowadzone w populacji pacjentów z przewlekłą białaczką szpikową. Próba kliniczna SPIRIT (Guilhot 2021) przeprowadzona w 69 ośrodkach we Francji, oceniająca skuteczność i bezpieczeństwo peginterferonu alfa-2a w skojarzeniu z imatynibem w porównaniu do imatynibu w monoterapii oraz imatynibu w skojarzeniu z cytarabiną. W grupie z peginterferonem w 15-letnim horyzoncie czasu obserwacji odnotowano OS 82% (95% CI: 75–87), PFS 79% (95% CI: 72–85). W porównaniu do monoterapii imatynibem po dołączeniu peginterferonu odnotowano istotnie statystycznie wyższy odsetek całkowitej odpowiedzi po 12 miesiącach (59% vs 41%; $p=0.0001$) oraz głębszej odpowiedzi komórkowej ($p=0.0027$).



Analiza śródkresowa badania RCT fazy III (Nicolini 2018) porównującego nilotynib (N=100) w monoterapii z leczeniem skojarzonym opartym na nilotynibie i peginterferonie alfa 2a (N=101), wykazała całkowitą odpowiedź hematologiczną u 88% w ramieniu monoterapii i 90,4% w ramieniu terapii skojarzonej po miesiącu terapii. Odsetek całkowitych odpowiedzi cytogenetycznych w 3 miesiącu wyniósł 63% vs 65% odpowiednio w ramionach A i B.

W otwartym badaniu RCT, fazy II, porównującym peginterferon alfa 2a (N=71) z niepegylowaną formą interferonu alfa 2a (N=73) u pacjentów z nieleczoną przewlekłą białaczką szpikową wykazano, że po 12 miesiącach OS był wyższy w przypadku PEG-IFNa-2a niż w przypadku IFNa-2a (96% w porównaniu z 93%) i ta różnica utrzymywała się przez 30 miesięcy obserwacji (90% w porównaniu z 77%), jednak w obu przypadkach uzyskane różnice nie były istotne statystycznie. Wskaźniki PFS były porównywalne między pacjentami leczonymi PEG-IFNa-2a i IFNa-2a przez 12 miesięcy leczenia (odpowiednio 94% w porównaniu z 92%), PEG-IFNa-2a był związany z korzystniejszą długoterminową kontrolą choroby bez progresji w porównaniu z IFNa-2a (85% w porównaniu z 75%; rocznica nieistotna statystycznie). Więcej pacjentów wymagało dostosowania dawki w wyniku działań niepożądanych lub nieprawidłowości laboratoryjnych w grupie PEG-IFNa-2a niż w grupie IFNa-2a (odpowiednio 84,5% w porównaniu z 65,8%).

Lek ten jest rekomendowany w tym wskazaniu przez PTOK i NCCN dla kobiet w okresie koncepcji oraz w ciąży, może także stanowić opcję leczenia chorych niskiego ryzyka, u których podawanie TKI nie jest zalecane z powodu schorzeń współwystępujących, nietolerancji lub przyjmowania innych leków.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 523), 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 2021 r., poz. 1285 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności dalszego finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr: OT.4221.26.2022 „peginterferonum alfa-2a we wskazaniach: C84.0, C84.1, C92.1, D45, D47.1, D75.2”, data ukończenia: 29.04.2022 r.