



Opinia Rady Przejrzystości
nr 134/2025 z dnia 4 sierpnia 2025 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną
arsenicum trioxidum w zakresie wskazań do stosowania
lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone
w Charakterystyce Produktu Leczniczego tj. ostra białaczka
promielocytowa

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną arsenicum trioxidum we wskazaniach pozarejestacyjnych: C.65.b. (C92.4 ostra białaczka promielocytowa w przypadku: pacjentów poniżej 18 roku życia z rozpoznaniem ostrej białaczki promielocytowej charakteryzującej się translokacją t(15;17) i (lub) obecnością genu PML/RAR-alfa).

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Ostra białaczka promielocytowa (APL, acute promyelocytic leukemia) jest szczególną postacią AML, w której blok różnicowania linii granulocytarnej nastąpił w stadium promielocyta. Morfologicznie odpowiada ona podtypowi M3 według dawnej skali FAB (French-American-British). W ponad 95% przypadków APL u podstaw patogenezy leży zrównoważona translokacja t(15;17)(q22,q21). Ostra białaczka promielocytowa stanowi 5-10% wszystkich ostrych białaczek szpikowych.

Rada Przejrzystości opiniowała refundację przedmiotowego leku w ww. wskazaniu trzykrotnie (rok 2016, 2019 i 2022). W każdym przypadku opinia była pozytywna.

Zgodnie z poprzednimi opiniami Rady Przejrzystości pierwszą linią leczenia, wywołującą remisje całkowite w ponad 90% przypadków, jest podawanie kwasu całkowicie-trans-retinowego (ATRA) i antracyklin. Po zastosowaniu tego leczenia u około 25% pacjentów dochodzi do nawrotu choroby, zazwyczaj po 10 latach. W przypadkach opornych na leczenie pierwszej linii i nawrotowych, w których nie można już zastosować leków antracyklinowych ze względu na ich kumulatywną kardi toksyczność, wytyczne międzynarodowe zalecają zastosowanie tritlenku diarsenu jako skuteczne, chociaż toksyczne, leczenie drugiej linii. Nadto wskazano, że leczenie ostrej białaczki promielocytowej,

z uwzględnieniem schematu ATO + ATRA, wydaje się być skuteczną terapią w populacji dzieci i młodzieży.

Dowody naukowe

Odnalezione wytyczne kliniczne, wydane od czasu ostatniej opinii Rady Przejrzystości w 2022 r., wskazują na zastosowanie ATO w APL, także u pacjentów poniżej 18 roku życia. Zgodnie z wytycznymi NCI 2024 biorąc pod uwagę bardzo wysoki poziom aktywności połączenia trójtlenku arsenu i tretinoiny u dorosłych z APL oraz dane wskazujące na podobną odpowiedź dzieci z APL na te środki, stosowanie tych dwóch środków stanowi optymalne podejście terapeutyczne w przypadku tej choroby.

Główne argumenty decyzji:

- *Pozytywne wcześniejsze opinie Rady,*
- *Brak nowych danych klinicznych dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa, które zmieniałyby wnioskowanie w tej sprawie,*
- *Leczenie zgodne z aktualnymi wytycznymi klinicznymi.*

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 930 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 2024 r., poz. 146).