



**Opinia Rady Przejrzystości**  
**nr 20/2026 z dnia 16 lutego 2026 roku**  
**w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną**  
**blinatumomab w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania,**  
**lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce**  
**Produktu Leczniczego**

*Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną blinatumomab we wskazaniu: leczenie blinatumomabem w fazie konsolidacji w pierwszej linii leczenia pacjentów pediatrycznych z nowozdiagnozowaną ostrą białaczką limfoblastyczną z grupy wysokiego ryzyka.*

**Uzasadnienie**

*Problem decyzyjny*

*Przedmiotowy wniosek dotyczy oceny zasadności wprowadzenia zmian w dotychczasowym opisie programu lekowego B.65 „Leczenie chorych na ostrą białaczkę limfoblastyczną (ILD-10; C91.0)” o zapisy dotyczące zastosowania substancji czynnej blinatumomab we wskazaniu pozarejestacyjnym: w fazie konsolidacji w pierwszej linii leczenia pacjentów pediatrycznych z nowo zdiagnozowaną ostrą białaczką limfoblastyczną z grupy wysokiego ryzyka. Zgodnie z aktualnym programem lekowym B.65 „Leczenie chorych na ostrą białaczkę limfoblastyczną (ICD-10; C91.0)” brak jest refundowanych terapii stosowanych w fazie konsolidacji w pierwszej linii leczenia pacjentów pediatrycznych z nowo zdiagnozowaną ostrą białaczką limfoblastyczną z grupy wysokiego ryzyka.*

*Dotychczas w analizowanej populacji opcje terapeutyczne finansowane w powyższym programie obejmują:*

- blinatumomab w 2. lub kolejnej linii leczenia pacjentów bez obecności chromosomu Filadelfia;*
- inotuzumab ozogamycyny w 2. lub kolejnej linii leczenia bez względu na obecność chromosomu Filadelfia.*

*Proponowana zmiana ma polegać na rozszerzeniu programu o wprowadzenie leku blinatumomab w fazie konsolidacji w pierwszej linii leczenia dzieci z ostrą białaczką limfoblastyczną.*

*Populację docelową stanowią:*

- *pacjenci pediatryczni (do ukończenia 18 roku życia),*
- *z nowo rozpoznaną ostrą białaczką limfoblastyczną 2 komórek prekursorowych limfocytów B (BCP-ALL),*
- *z całkowitą remisją po leczeniu indukującym (remisja zdefiniowana jako odsetek komórek blastycznych w szpiku < 5% oraz nieobecność poza szpikowych ognisk choroby),*
- *z których po fazie leczenia indukcyjnego stwierdzono wysokie ryzyko wznowy choroby (definiowane wg obowiązującego obecnie w Polsce protokołu leczenia).*

*Dowody naukowe*

*Do analizy skuteczności i bezpieczeństwa włączono dowody z przeglądu systematycznego /Queudeville 2021/ oraz pierwotne badanie kliniczne z randomizacją /Locatelli, badanie NCT02393859/ oraz wyniki polskiego badania cALL-POL.*

*Ograniczenia analizy klinicznej:*

- *nie odnaleziono badań dotyczących efektywności praktycznej ocenianej technologii w populacji docelowej;*
- *odnaleziono jedno badanie wtórne opisujące wyniki analizy pierwotnej w badaniu NCT02393859;*
- *mediana czasu obserwacji w badaniu cALL-POL wynosi 22 miesiące, a badanie wciąż trwa. W związku z tym wyniki skuteczności i bezpieczeństwa są niedojrzałe, a wnioski na ich podstawie są ograniczone;*
- *w publikacjach włączonych do przeglądu, opisujących badanie NCT02393859 nie odnaleziono wyników analizy porównawczej między ramionami leczenia w zakresie minimalnej choroby resztkowej /analiza końcowa/ czy profilu bezpieczeństwa;*
- *w badaniu NCT02393859 leczenie stanowił jeden cykl blinatumomabu. W związku z faktem, że są niedostępne ostateczne wyniki badania cALL-POL, wnioskowanie o skuteczności i bezpieczeństwa stosowania blinatumomabu w kilku cyklach jest ograniczone;*
- *nie odnaleziono wyników dotyczących jakości pacjentów.*

*Wytyczne kliniczne:*

- *nie odnaleziono polskich wytycznych dotyczących leczenia ALL u dzieci;*
- *NCCN2025 – leczenie ALL u pacjentów pediatrycznych: blinatumomab we wszystkich schematach konsolidacji B-ALL /kategoria: 2A/;*
- *NCI2025 - ogólne: konsolidacja -> chemioterapia i alloHSCT;*

- *SITC2020 - ogólne: nowo zdiagnozowany B-ALL i obecnie MRD po indukcji - należy zaproponować blinatumomab.*

#### Problem ekonomiczny

*Ocenia się, że populacja docelowa, która będzie leczona blinatumomabem w 1 linii leczenia ALL wyniesie około 45 pacjentów rocznie.*

*Wyniki analizy wskazały, że roczny koszt terapii blinatumomabem 1 pacjenta pediatrycznego jest droższy od terapii chemioterapią o około [REDACTED] w wariancie uwzględniającym podawanie blinatumomabu z wykorzystaniem pomp infuzyjnych oraz o około [REDACTED] w wariancie uwzględniającym hospitalizację pacjentów leczonych BLIN przez pełny cykl leczenia.*

*Wyniki analizy na budżet płatnika wykazały, że rozpoczęcie refundacji terapii blinatumomabem w 1. linii leczenia pacjentów pediatrycznych spowoduje wzrost wydatków płatnika.*

*Roczne koszty NFZ, w zależności od przyjętego wariantu kosztów podania (hospitalizacji w ramieniu BLIN, w scenariuszu podstawowym liczebności populacji wyniosą [REDACTED]*

#### Rekomendacje refundacyjne:

*CDA-AMC 2025:*

- *warunek – koszt leku Blincyto powinien zostać obniżony;*
- *dowody z badania klinicznego u pacjentów pediatrycznych wskazywały na opóźnienie nawrotu choroby;*
- *Terapia zaspokaja potrzeby pacjentów w zakresie oferowania dodatkowej opcji leczenia.*

*NCPE 2021:*

- *Blinatumomab nie rozważany do refundacji przy proponowanej cenie.*

*HAS 2025:*

- *Udowodniono umiarkowaną dodaną wartość kliniczną w porównaniu do CHT w leczeniu pacjentów pediatrycznych w wieku od 1 miesiąca do 1 r.ż.*

*G-BA 2022/IQWIQ 2021:*

- *Udowodniono dodatkową korzyść leczenia w grupie pacjentów wysokiego ryzyka*

#### Główne argumenty decyzji:

- *Niespójne zalecenia w wytycznych;*
- *Nie odnaleziono badań dotyczących efektywności praktycznej w ocenianej technologii;*

- *Niedojrzałe dane dotyczące skuteczności i bezpieczeństwa ze względu na trwające badanie kliniczne w polskiej populacji;*
- *Zwiększenie wydatków z budżetu płatnika;*

#### **Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 907 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 2025 r. poz. 1461), z uwzględnieniem opracowania nr: OTOW.422.1.1.2025 „Opracowanie dotyczące oceny zasadności wprowadzenia zmian w dotychczasowym opisie programu lekowego B.65. Leczenie chorych na ostrą białaczkę limfoblastyczną (ICD-10: C91.0) dotyczących zastosowania substancji czynnej: blinatumomab we wskazaniu pozarejestrycyjnym: w fazie konsolidacji w pierwszej linii leczenia pacjentów pediatrycznych z nowo zdiagnozowaną ostrą białaczką limfoblastyczną z grupy wysokiego ryzyka”; data ukończenia: 12 lutego 2026 r.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców (Amgen sp. z o.o., Centrum E-Zdrowie, Konsorcjum cALL-POL/ Agencja Badań Medycznych).

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem (Amgen sp. z o.o., Centrum E-Zdrowie, Konsorcjum cALL-POL/ Agencja Badań Medycznych) o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

**Podstawa prawna wyłączenia jawności:** art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2022 r., poz.902) w zw. z art. 11 ust. 2 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2022 r., poz. 1233) i , art. 35 ust. 4a - 4b i art. 35a ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 907 z późn. zm.).

**Organ dokonujący wyłączenia jawności:** Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji.

**Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności:** (Amgen sp. z o.o., Centrum E-Zdrowie, Konsorcjum cALL-POL/ Agencja Badań Medycznych).