



**Rada Przejrzystości**  
działająca przy  
**Prezisie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji**

---

**Protokół nr 8/2018**  
**z posiedzenia Rady Przejrzystości**  
**w dniu 15 marca 2018 roku**  
**w siedzibie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT)**

Członkowie Rady Przejrzystości (Rada) obecni na posiedzeniu:

1. Anna Cieślik
2. Anna Gręziak
3. Barbara Jaworska-Łuczak
4. Dorota Kilańska
5. Konrad Maruszczczyk
6. Michał Myśliwiec
7. Rafał Niżankowski – prowadził posiedzenie
8. Tomasz Pasierski
9. Dariusz Struski
10. Rafał Suwiński – udział do punktu 7.
11. Piotr Szymański
12. Janusz Szyndler
13. Andrzej Śliwczyński
14. Dariusz Tereszowski-Kamiński
15. Artur Zaczyński

Członkowie Rady nieobecni na posiedzeniu:

1. Adam Maciejczyk
2. Jakub Pawlikowski
3. Tomasz Romańczyk
4. Anetta Undas

Porządek obrad:

1. Otwarcie posiedzenia, wybór Przewodniczącego i Wiceprzewodniczących Rady.
2. Omówienie i zatwierdzenie porządku obrad.
3. Omówienie konfliktów interesów członków Rady.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leków OPDIVO (niwolumab)/YERVOY (ipilimumabum) w ramach programu lekowego: „Leczenie zaawansowanego czerniaka (nieoperacyjnego lub przerzutowego) u dorosłych (ICD-10 C43)”.
5. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku SPINRAZA (nusinersen) w ramach programu lekowego: „Leczenie rdzeniowego zaniku mięśni (ICD-10 G12.0, G12)”.



6. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych leku DINUTUXIMAB BETA EUSA (dinutuximab beta) we wskazaniu: nerwiak zarodkowy współczulny (ICD-10: C47.9) u pacjentów pediatrycznych wysokim ryzykiem wznowy choroby.
7. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych leku TASIGNA (nilotinib) we wskazaniu przewlekła białaczka szpikowa Ph+ (ICD-10: C92.1) u pacjenta pediatrycznego ze stwierdzoną opornością na leczenie imatinibem.
8. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych leku STIVARGA (regorafenib) we wskazaniu rak jelita grubego (ICD-10: C18.6) w stadium rozsiewu.
9. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych leku STIVARGA (regorafenib) we wskazaniu: rak odbytnicy (ICD-10: C20).
10. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych leku MIMPARA (cinacalcet) we wskazaniu rak przytarczyc z przerzutami do płuc (ICD-10: C75.0) z hiperkalcemią.
11. Zakończenie posiedzenia.

**Ad 1.** Posiedzenie o godzinie 13:00 otworzył Prezes AOTMiT Roman Topór- Mądry. Powitał zebranych, zaproponował wyłonienie w pierwszej kolejności Przewodniczącego i Wiceprzewodniczących Rady.

Do pełnienia funkcji Przewodniczącego zgłoszono dwie kandydatury: Tomasza Pasierskiego i Rafała Niżankowskiego, którzy zgodzili się kandydować. W pierwszym głosowaniu kandydaci otrzymali równą liczbę głosów (po 7 głosów; oddano 1 głos nieważny [nie wskazano kandydata]), w wyniku drugiego głosowania przewodniczącym Rady został Rafał Niżankowski.

Do pełnienia funkcji wiceprzewodniczących zgłoszono cztery kandydatury: Michała Myśliwca i Piotra Szymańskiego, Rafała Suwińskiego i Tomasza Pasierskiego, którzy zgodzili się kandydować. Każdy z członków Rady mógł wskazać nie więcej niż 2 kandydatów do pełnienia funkcji wiceprzewodniczącego. Oddano po głosów, w tym 1 głos nieważny (więcej kandydatów), 8 na Michała Myśliwca, 8 na Piotra Szymańskiego, 6 na Rafała Suwińskiego i 6 na Tomasza Pasierskiego, w wyniku czego Michał Myśliwiec i Piotr Szymański zostali wiceprzewodniczącymi Rady Przejrzystości.

W tym miejscu prowadzenie posiedzenia przejął przewodniczący Rady.

**Ad 2.** Rada przyjęła jednogłośnie propozycję porządku obrad przedstawioną przez Rafała Niżankowskiego, uwzględniającą łączne omówienie tematów objętych 8 i 9 punktem porządku obrad.

**Ad 3.** Rafał Suwiński zgłosił konflikt interesów związany z 4. punktem porządku obrad, polegający na prowadzeniu przez Klinikę w której jest zatrudniony badania dla leków Yervoy/Opdivo w innym, niż oceniane wskazaniu, sponsorowanym przez firmę BMS. Rada jednogłośnie wyłączyła go z udziału w tym punkcie obrad.

Następnie Rafał Niżankowski zgłosił swój udział pracach grupy „Agora”, finansowanej przez firmę Novartis, której lek objęty jest 7. punktem porządku obrad, a która zajmowała się tematem „real world evidence” oraz obserwacją wyników badań obserwacyjnych, głównie w oparciu o rejestry. Udział w pracach ww. grupy miał miejsce ponad rok wcześniej. Rada nie uznała za zasadne wyłączenie go z udziału w tym punkcie obrad.

Pozostali członkowie Rady nie zgłosili konfliktu interesów.

**Ad 4.** Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z analizy weryfikacyjnej nr: OT.4331.11.2017 „Wniosek o objęcie refundacją leków Opdivo (niwolumab) i Yervoy (ipilimumab) we wskazaniu: leczenie zaawansowanego czerniaka (nieoperacyjnego lub przerzutowego) u dorosłych”.

Następnie, swoją propozycję stanowiska przedstawił Tomasz Pasierski, członek Rady wyznaczony do przygotowania projektu stanowiska Rady. Zaproponował stanowisko pozytywne. Zaznaczył, że wnioskowane leki mają lepszy profil bezpieczeństwa niż chemioterapia i stosowane dotychczas w monoterapii wykazywały skuteczność. Obecnie wnioskowane jest podawanie obu leków łącznie, ze względu na ich działanie synergistyczne. Wartość inkrementalnego współczynnika efektywności kosztowej znajduje się znacznie poniżej progu opłacalności.

W trakcie dyskusji Rada, rozważała zasadność włączenia wnioskowanych terapii do stosowania w ocenianym wskazaniu do istniejącego programu lekowego, zamiast tworzenia nowego. Omawiano również konieczność pogłębienia instrumentu podziału ryzyka, z uwagi na objęcie leczeniem szerszej populacji niż dotychczas i wysoki wpływ na budżet NFZ. Dyskutowano również nad kwestią populacji u której należy pozostawić możliwość stosowania wnioskowanych leków w monoterapii m.in. z uwagi na większą toksyczność politerapii.

Po ostatecznym sformułowaniu treści uchwały, prowadzący zarządził głosowanie. Rada 13 głosami za projektem stanowiska Rady, przy 1 głosie przeciw projektowi (Rafał Suwiński był wyłączony z udziału tym punkcie obrad), przyjęła uchwałę, będącą jej stanowiskiem, która stanowi załącznik do protokołu.

**Ad 5.** Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z analizy weryfikacyjnej nr: OT.430.5.2017 „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu produktu leczniczego Spinraza (nusinersenum) w ramach programu lekowego »Leczenie rdzeniowego zaniku mięśni (ICD-10: G12.0, G12.1)«”.

Następnie, swoją propozycję stanowiska przedstawił Janusz Szyndler, członek Rady wyznaczony do przygotowania projektu stanowiska Rady. Podkreślił, że rdzeniowy zanik mięśni (SMA) jest chorobą ultraradką. W przypadku takich populacji dane kliniczne wysokiej jakości są trudne do pozyskania. Badania dotyczące nusinersenu były wielośrodkowe (ponad 30 krajów). Następnie opisał przebieg choroby i sposób działania wnioskowanego leku. Lek, poprzez aktywację nieczynnego białka, produkowanego przez gen SMN2, zastępując w praktyce białko produkowane u zdrowych osób przez gen SMN1, staje się niemal leczeniem przyczynowym. Choroba ma wiele fenotypów, w niektórych przypadkach rozpoczyna się już w życiu płodowym. Zachodzi pewna korelacja pomiędzy zwiększaniem liczby kopii genu SMN2, a łagodniejszym przebiegiem choroby, co powinno się przekładać na większą efektywność leczenia, jednak brak, na chwilę obecną, twardych danych to potwierdzających. Z drugiej strony, większość pacjentów z pierwszym fenotypem umierała w czasie ok. 18 miesięcy – leczenie wydłużało przeżycie. Analogicznie, stosowanie leczenia zatrzymuje postęp choroby przy drugim i trzecim fenotypie. Należy też pamiętać, że korelacja pomiędzy fenotypem i liczbą kopii genu SMN2 zachodzi. Jednakże leczenie powinno być włączone we wczesnej fazie choroby, gdyż np. u pacjentów wentylowanych mechanicznie nie odnotowywano odpowiedzi istotnej klinicznie. Dotychczasowe leczenie w zasadzie ogranicza się do leczenia objawowego u chorych zdiagnozowanych i badania mutacji u rodzeństwa osób chorych. Stosowanie leczenia u osób bezobjawowych musiałoby się odbywać w oparciu o program badań przesiewowych o charakterze narodowym. Lek ma dość dobry profil bezpieczeństwa, przy czym sam przebieg choroby ma ciężki charakter. W jego ocenie, pod względem klinicznym, lek jest przełomowy.

Problemem jest bardzo wysoka kosztowa nieefektywność leczenia, z uwagi na ogromną cenę jednostkową leku, a także ogromne obciążenia dla budżetu płatnika publicznego, wzrastające w miarę włączenia do leczenia pacjentów w kolejnych latach. Następnie przedstawił dwie propozycje stanowiska Rady. Pierwszą pozytywną, z uwagi na efektywność kliniczną, warunkowaną obniżeniem ceny leku a także zastosowaniem instrumentu podziału ryzyka, ograniczającego obciążanie budżetu płatnika publicznego. Drugą negatywną, wynikającą z bardzo krótkiego okresu dostępności leku na rynku, a także nieporównywalne z innymi lekami obciążenie dla płatnika publicznego.

W tym miejscu Dariusz Tereszowski-Kamiński zgłosił konflikt interesów związany z omawianym punktem porządku obrad, polegający na prowadzeniu przez jego żonę badania pilotażowego z udziałem omawianego leku, na terenie Wielkiej Brytanii. Rada jednogłośnie wyłączyła go z udziału w tym punkcie obrad.

Następnie stanowisko w sprawie finansowania omawianego leku przedstawił pacjent – Pan Wojciech Kowalczyk. Poinformował, że od urodzenia choruje na SMA typu pierwszego. Jest również pierwszym w Europie dorosłym beneficjentem programu Extended Access Program for Nusinersen, w ramach którego otrzymał już 5 dawek leku. Przed podaniem 5. dawki leku przeprowadzono u niego badania, które wykazały wzrost o 4 punkty w skali MFM (ang. Motor Function Measure) oraz o 2 punkty w skali HINE (ang. Hammersmith Infant Neonatal Neurological Examination), przy 0 punktów w obu skalach przed rozpoczęciem leczenia. Podkreślił, że lek nie jest szansą tylko dla niego, lecz również dla wszystkich chorych na SMA, w tym dorosłych. Dzięki zastosowanemu leczeniu jest w stanie utrzymać głowę w pozycji pionowej, a także, przy asekuracji rehabilitanta, usiąść, co pozwala mu zwiększyć samodzielność, odciążając tym samym swoich opiekunów – rodziców. Podkreślił również, że choroba, przy wsparciu rodziny i intensywnej rehabilitacji, pozwoliła mu docenić wagę możliwości własnego rozwoju, jak również wartość życia, nawet przy tak ciężkiej chorobie, co pozwoliło mu przeżyć do czasu wynalezienia skutecznej metody leczenia. W odpowiedzi na pytania członków Rady dodał, że koszt leku, w ramach ww. programu, pokrywa firma, po stronie pacjenta pozostają koszty szpitalne i podróży do Belgii, gdzie prowadzone jest badanie. Dodał, że grupa chorych z typem pierwszym jest w Polsce niewielka, ponieważ wielu chorych nie przeżyło do czasu wynalezienia leczenia. Osobiście zna jeszcze jednego pacjenta z Polski, który otrzymuje leczenie w ramach ww. programu.

Następnie Katarzyna Kozłowska – Przewodnicząca Zarządu Głównego Polskiego Towarzystwa Chorób Nerwowo-Mięśniowych przedstawiła pozytywnie stanowisko reprezentowanego przez siebie towarzystwa odnośnie do finansowania omawianego leku w całej populacji chorych z SMA. Krótko opisała działalność towarzystwa, a następnie przedstawiła prezentację, w której scharakteryzowała typy choroby, jak również odniosła się do najnowszych dowodów naukowych wskazujących na skuteczność leczenia również u pacjentów starszych, chodzących. Ponieważ zna osobiście wielu pacjentów, była w stanie dostrzec realny wpływ leczenia na jakość życia pacjentów z SMA. Podkreśliła, że wnosi o pełną refundację leczenia dla wszystkich pacjentów, ponieważ nie należy ich dzielić ze względu na typ choroby, odmawiając leczenia części z nich. Leczenie należy włączyć jak najwcześniej, w celu zatrzymania postępu choroby w jak najwcześniejszym stadium. Dodatkowo, w odpowiedzi na pytanie Rady, poinformowała, że nie zna uzasadnienia poziomemu cenowi leku Spinraza.

W dalszej kolejności stanowisko pacjentów przedstawili Kacper Ruciński – Prezes Fundacji SMA oraz Paweł Pedrycz – Koordynator Projektów fundacji. W trakcie prezentacji Paweł Pedrycz przedstawił informacje na temat praktycznego znaczenia efektów leczenia mierzonych w skali motorycznej, jak również destruktywnego wpływu braku leczenia. Niewielka zmiana mierzona w badaniu przekłada się na znaczącą poprawę lub pogorszenie stanu zdrowia lub samodzielności pacjenta. Ponadto, zwrócił uwagę, że pogarszanie się stanu zdrowia nieleczonych pacjentów ma ogromny wpływ

na sytuację materialną rodziny chorego, jak również obciążenie budżetu płatnika publicznego i zapotrzebowanie na świadczenia socjalne. Leczenie nusinersenem pozwala uzyskać odwrócenie pewnego postępu choroby – np. chorzy, którzy utracili możliwość samodzielnego siedzenia znów są w stanie to robić. Leczenie wpływa nie tylko na zwiększenie jakości życia chorego, ale też jego rodziny. Również w dłuższej perspektywie czasowej leczenie umożliwi planowanie rozwoju i normalnego życia chorego i członków jego rodziny. Zastosowanie leczenia, pozwala uniknąć dodatkowych kosztów leczenia/wspomagania chorego i jego rodziny wynikających z naturalnego przebiegu choroby, jak również pozwala opiekunom na pracę i rozwój zawodowy, co przekłada się na wpływy z podatków. Podsumowując, jako Fundacja SMA, zawnioskował o umożliwienie dostępu do leczenia bez względu na wiek pacjenta i stopień zaawansowania choroby, gdyż ratuje on życie, jak również zapobiega nieodwracalnym skutkom postępu choroby, u większości chorych poprawia stan funkcjonalny, diametralnie poprawia jakość życia oraz zmniejsza obciążenia dla budżetu państwa i społeczeństwa. Argumenty te są w jego ocenie powodem, dla którego tak wiele państw w Europie objęło nusinersen refundacją w bieżącym roku. Kacper Ruciński podkreślił, że nie chciałby otrzymywać sygnałów z Polski, jakie napływają z niektórych państw, gdzie nusinersen nie jest refundowany, a chorzy są odsyłani ze szpitali z informacją, że tej choroby się nie leczy. Zaznaczył, że cena leku jest ogromna, lecz Minister Zdrowia i Komisja Ekonomiczna mają możliwość negocjacji ceny do poziomu, przy którym możliwe jest jego sfinansowanie przez NFZ.

Następnie Rada odbyła telekonferencję z dr n. med. Marią Jędrzejowską z Instytutu Medycyny Doświadczalnej i Klinicznej im. M. Mossakowskiego Polskiej Akademii Nauk. Poinformowała, że zajmuje się leczeniem SMA od przeszło 20 lat. Zwróciła uwagę, że choroba ma charakter postępujący. Najwięcej utracić mogą pacjenci w postaci łagodnej, gdyż przechodzą od praktycznie pełnej sprawności do praktycznie pełnej plegi. Jednakże nawet u pacjentów z ostrą postacią i dużym zaawansowaniem choroby, poddanych wentylacji mechanicznej, można utracić możliwość mimiki, poruszania gałkami ocznymi, co całkowicie odcina tych pacjentów od świata. Dla rodziców chorych dzieci już samo zastopowanie progresji choroby jest niebywałym sukcesem, niezależnie od stadium, w jakim znajduje się pacjent. Obiektywnie, najlepsze rezultaty można osiągnąć wprowadzając leczenie wcześniej, nawet u pacjentów przedobjawowych (w próbie klinicznej osiągnięto średnio 22 punkty w skali HINE). Wyjaśniła, że sformułowanie to budziło wątpliwości na skutek mieszania pojęć tj. pacjentów przedobjawowych z tzw. asymptomatycznymi. Ci drudzy są pacjentami dorosłymi, bez klinicznych objawów choroby, u których stwierdzono mutację typową dla SMA. Pacjenci przedobjawowi, są to pacjenci przed wykryciem objawów choroby w wyniku badań przesiewowych, czy badaniach prenatalnych (przeprowadzonych z uwagi na wykrycie choroby u rodzeństwa). Podsumowując stwierdziła, że lek nusinersen jest lekiem bezpiecznym, skutecznym we wszystkich typach SMA, najskuteczniejszym u pacjentów przedobjawowych. Minusem terapii jest dokanałowa droga podania oraz sam koszt terapii. W odpowiedzi na pytania Rady, oszacowała wielkość przyrostu populacji w Polsce na 50 pacjentów rocznie. Stwierdziła, że zwiększanie populacji leczonej następować będzie na skutek wydłużania życia pacjentów z postacią ostrą SMA. Nie zna medycznego uzasadnienia (tj. od strony technologicznej, chemicznej) wysokości ceny leku. Ponadto zauważyła, że różnicowanie zasadności podawania leku w zależności od liczby kopii genu SMN2 nie jest zasadne (co do zasady przy dwóch kopiach genu choroba będzie miała charakter ostry, przy czterech kopiach – łagodny, przy trzech kopiach nie da się przewidzieć charakteru choroby) chyba, że refundacja miałaby być ograniczona jedynie do określonego typu choroby. Kryterium wyłączenia z leczenia nie powinien być brak poprawy w skali motorycznej, gdyż przy tak postępującej chorobie, sam brak postępu jest efektem leczenia. Dodatkowo zauważyła, że w pewnych okresach życia chorego, np. w okresie dojrzewania, utrata funkcji motorycznych będzie większa, a w innych dużo mniejsza (dane kliniczne wskazują na obniżenie o -5-1 pkt rocznie).

Rada, w trakcie dyskusji podkreślała, że przy proponowanym kształcie programu lekowego, uwzględniającym pacjentów bezobjawowych koszt refundacji wnioskowanego leku dla płatnika publicznego jest niemożliwy do pokrycia. Rozważano zastosowanie mechanizmu cappingu w celu ograniczenia wpływu na budżet NFZ a także wprowadzenie kryterium wyłączenia z programu w odniesieniu do pacjentów, u których nie odnotowano poprawy w ciągu 12 miesięcy leczenia. Podkreślano również, że efekty zdrowotne są skrajnie niewspółmierne do kosztów leczenia, w konsekwencji czego rozważano zastosowanie instrumentu podziału ryzyka przenoszącego koszty leczenia pacjentów nie wykazujących poprawy na podmiot odpowiedzialny. Podnoszono również, że prowadzone są badania kliniczne kolejnych sześciu cząsteczek w tym wskazaniu, co oznacza, że w perspektywie dziesięcioletniej jest szansa na obniżenie kosztów leczenia.

W tym miejscu, z uwagi na konieczność sformułowania treści uchwały, Rada przeszła do omawiania 6. punktu porządku obrad. 4.42

**Ad 6.** Rada zrezygnowała z przedstawiania prezentacji analitycznej w tym punkcie obrad.

Swoją propozycję opinii przedstawił Rafał Suwiński, członek Rady wyznaczony do przygotowania projektu opinii Rady. Zaznaczył, że jest to trudny problem decyzyjny. Nerwiak współczulny jest nowotworem rozpoznawanym u dzieci i stanowi ok 5-7% nowotworów u dzieci. Jego przebieg kliniczny jest bardzo zróżnicowany. U części chorych nowotwór odpowiada na standardową chemioterapię, u części dochodzi do spontanicznych regresji – pozostała część pacjentów umiera – lek ma zmienić przebieg choroby tej grupy pacjentów. Przytoczył wskazania rejestracyjne leku i odniósł się do dowodów na skuteczność kliniczną. Stanowią je wyniki badania jednoramiennego (porównanie z grupą historyczną). Podkreślił, że ma ono oczywiste ograniczenia jakościowe, jednakże jego wyniki wskazują na wysoką skuteczność leczenia w postaci zwiększenia odsetka przeżyć całkowitych. Dodatkowym ograniczeniem jest stosowanie dinotuximabu beta, u części chorych, wraz z innymi terapiami, co utrudnia ocenę, czy to wnioskowany lek, czy dodatkowo stosowane leczenie odpowiada za wyniki terapii. Zwrócił również uwagę na ogromne koszty terapii w przeliczeniu na jednego chorego, a także wysoki wpływ na budżet NFZ refundacji leczenia w szacowanej populacji. Z uwagi na tryb rozpatrywania wniosku nie przedstawiono danych nt. efektywności kosztowej stosowania leku. Brytyjski NICE uznał dwa lata wcześniej terapię za kosztowo nieefektywną, przy czym nie były wówczas znane wyniki badań długoterminowych. Rozważał zaproponowanie opinii pozytywnej, jednakże istnieją inne refundowane terapie w tym wskazaniu. Zatem wnioskowany lek nie spełnia, w jego ocenie, kryteriów terapii ratunkowej.

Rada, w ramach dyskusji podkreślała, że lek został zarejestrowany warunkowo i brak jest dojrzałych danych zarówno na skuteczność, jak i bezpieczeństwo stosowania leku. podkreślano również, że omawiany lek jest stosowany w zasadzie jako leczenie podtrzymujące w politerapii.

W tym miejscu rada powróciła do 5. Punktu porządku obrad.

**cd Ad 5.** Po ostatecznym sformułowaniu treści uchwały, prowadzący zarządził głosowanie. Rada 13 głosami za projektem opinii Rady, przy 2 głosach przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej opinią, która stanowi załącznik do protokołu.

**cd Ad 6.** Po ostatecznym sformułowaniu treści uchwały, prowadzący zarządził głosowanie. Rada 13 głosami za projektem opinii Rady, przy 2 głosach przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej opinią, która stanowi załącznik do protokołu.

**Ad 7.** Rada zrezygnowała z przedstawiania prezentacji analitycznej w tym punkcie obrad.

Swoją propozycję opinii przedstawił Konrad Maruszczyk, członek Rady wyznaczony do przygotowania projektu opinii Rady. Zaproponował stanowisko pozytywne, podając, że alternatywą

dla wnioskowanego leczenia jest jedynie przeszczepienie szpiku. Zaznaczył, że oceniane wskazanie wychodzi poza zakres wskazań zarejestrowanych, z uwagi na objęcie zleceniem populacji dziecięcej. Odnalezione dowody naukowe są niskiej jakości – wielośrodkowe, niezaślepienie badanie pierwszej fazy, bez grupy kontrolnej, które wykazało, przy minimum 12 cyklach leczenia po 28 dni, w grupie wiekowej 2-11 lat, całkowitą odpowiedź hematologiczną u wszystkich badanych (5 osób), a w grupie wiekowej 12-18 lat (5/6 osób) oraz odpowiedź cytogenetyczną (odpowiednio 2/5 i 2/6 osób). W populacji dorosłej skuteczność leczenia jest dobrze udokumentowana i lepsza względem dasatynibum – [REDAKTOWANE] koszt terapii. Brak jest danych dobrej jakości z zakresu bezpieczeństwa stosowaniu leku u dzieci. Dodatkowo, populacja, która może być objęta wnioskowanym leczeniem, szacowana jest na kilka osób rocznie. Podkreślił również, że przy zastosowaniu terapii u dzieci, należałoby indywidualnie omawiać z opiekunami kwestię bezpieczeństwa stosowania, z uwagi na brak dobrych danych w populacji dziecięcej.

Rada, w ramach dyskusji podkreślała, że przeszczepienie szpiku nie jest alternatywą wobec wnioskowanego leczenia, gdyż dąży się do niego mimo stosowanego leczenia, a wnioskowane leczenie umożliwia doczekanie pacjenta do przeszczepienia. Inne leki z tej grupy stosowane są przy konieczności przełamania oporności na wcześniej stosowane leczenie imatynibem.

Po ostatecznym sformułowaniu treści uchwały, prowadzący zarządził głosowanie. Rada 13 głosami za projektem opinii Rady, przy 2 głosach przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej opinią, która stanowi załącznik do protokołu.

W tym miejscu posiedzenie opuścił Rafał Suwiński.

**Ad 8. i 9.** Rada zrezygnowała z przedstawiania prezentacji analitycznej w tych punktach obrad.

Swoje propozycje opinii przedstawił Piotr Szymański, członek Rady wyznaczony do przygotowania projektów opinii Rady. Zaznaczył, że odnalezione badania dotyczą obydwu wskazań, w jakich rozpatrywany jest lek, to jest raka jelita grubego w stadium rozsiewu oraz raka odbytnicy. Wyniki wskazują na niewielką poprawę przeżywalności (ok. 1,5 miesiąca) oraz poprawę przeżycia bez progresji (do 2,5 miesiąca). Należy pamiętać, że mediana przeżycia tej grupy chorych wynosi ok. 5-6 miesięcy. Terapia nie prowadzi zatem do klinicznie istotnego wydłużenia przeżycia w kontekście wytycznych amerykańskiej unii onkologii, która określa wartość progową w zakresie przeżycia całkowitego na 3 miesiące. Z powyższych powodów zaproponował opinie negatywne.

Wobec braku głosów w dyskusji, po ostatecznym sformułowaniu treści uchwały dotyczącej zasadności finansowania ze środków publicznych leku STIVARGA (regorafenib) we wskazaniu rak jelita grubego (ICD-10: C18.6) w stadium rozsiewu, prowadzący zarządził głosowanie. Rada 14 głosami za projektem opinii Rady, przy 0 głosów przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej opinią, która stanowi załącznik do protokołu.

Wobec braku głosów w dyskusji, po ostatecznym sformułowaniu treści uchwały dotyczącej zasadności finansowania ze środków publicznych leku STIVARGA (regorafenib) we wskazaniu: rak odbytnicy (ICD-10: C20), prowadzący zarządził głosowanie. Rada 14 głosami za projektem opinii Rady, przy 0 głosów przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej opinią, która stanowi załącznik do protokołu.

**Ad 10.** Rada zrezygnowała z przedstawiania prezentacji analitycznej w tym punkcie obrad.

Swoją propozycję opinii przedstawił Michał Myśliwiec, członek Rady wyznaczony do przygotowania projektu opinii Rady. Podkreślił, że wniosek dotyczy leku Mimpara, dla którego dostępne są na polskim rynku tańsze leki generyczne, zawierające cynakalcet. Z tego tytułu zaproponował opinię negatywną.

Podkreślił, że występowanie choroby jest bardzo rzadkie. Ograniczenie populacji do współistnienia przerzutów do płuc dodatkowo ogranicza populację. Nie ma wątpliwości, że leczenie cynakalcetem jest skuteczne i bezpieczne, lecz istnieją konkurencyjne cenowo, względem leku Mimpara, preparaty cynakalcetu.

Po ostatecznym sformułowaniu treści uchwały, prowadzący zarządził głosowanie. Rada 14 głosami za projektem opinii Rady, przy 0 głosów przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej opinią, która stanowi załącznik do protokołu.

**Ad 11.** Prowadzący posiedzenie Rafał Niżankowski zakończył posiedzenie Rady o godzinie 18:42.

Protokół sporządził Rafał Niżankowski  
Przewodniczący Rady Przejrzystości

.....  
(data i podpis)



## KARTA NIEJAWNOŚCI

*Dane zakreślone kolorem czarnym stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców (Novartis Poland Sp. z o.o.).*

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem (Novartis Poland Sp. z o.o.) 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 2016 r., poz.1764 z późn. zm.) w zw. z art. 11 ust. 4 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2018 r., poz. 419).

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

**Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności:** (Novartis Poland Sp. z o.o.).