



BP.401.32.2022.LAn

**Protokół nr 30/2022**  
**z posiedzenia Rady Przejrzystości**  
**w dniu 1 sierpnia 2022 roku**  
**w formie wideokonferencji**

Rafał Niżankowski otworzył posiedzenie o godzinie 10:05.

Członkowie Rady Przejrzystości (Rada) obecni przy rozpoczęciu posiedzenia (kworum 7 osób):

1. Maciej Karaszewski
2. Dorota Kilańska
3. Marcin Kołakowski
4. Adam Maciejczyk
5. Michał Myśliwiec
6. Rafał Niżankowski
7. Tomasz Pasierski
8. Jakub Pawlikowski
9. Rafał Suwiński

Członkowie Rady nieobecni na posiedzeniu:

1. Anna Gręziak

Proponowany porządek obrad:

1. Ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Onureg (azacitidine) w ramach programu lekowego B.114. „Leczenie chorych na ostrą białaczkę szpikową (ICD-10 C 92.0)”.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Suliqua (insulinum glarginum + lixisenatidum) we wskazaniu: leczenie dorosłych pacjentów z niekontrolowaną cukrzycą typu 2 pomimo leczenia insuliną bazową (BI) w skojarzeniu z co najmniej jednym doustnym lekiem hipoglikemizującym (OAD) z HbA1c >7%.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Tremfya (guselkumabum) w ramach programu lekowego: „Leczenie aktywnej postaci łuszczycowego zapalenia stawów (ŁZS) (ICD-10 L40.5, M07.1, M07.2, M07.3)”.
5. Zakończenie posiedzenia.

**Ad 1.** Rafał Suwiński zgłosił konflikt interesów w zakresie pkt 2. proponowanego porządku obrad, w związku z powyższym podczas głosowania jego głos liczony będzie jako wstrzymujący. Żaden z pozostałych członków Rady nie zadeklarował konfliktu interesów.

Rada jednogłośnie (9 głosami „za”) przyjęła zaproponowany porządek obrad.



**Ad 2.** Analityk Agencji podsumował najważniejsze informacje o leku Onureg (wniosek refundacyjny) w ramach programu lekowego dot. ostrej białaczki szpikowej.

Rada wysłuchała stanowiska eksperta z dziedziny medycyny, który odpowiadał także na pytania Rady. Rada wysłuchała także stanowiska przedstawiciela pacjentów.

Propozycję stanowiska Rady przedstawił Rafał Niżankowski, który zwrócił uwagę na fakt, że oceniany wniosek wpłynął do Ministra Zdrowia po 1 marca br., w związku z czym zostanie rozpatrzony przez Radę także pod kątem danych określonych przez Wnioskodawcę jako tajemnica przedsiębiorcy.

W dyskusji Rady, w wyniku której zmodyfikowano treść uchwały, udział brali: Michał Myśliwiec, Rafał Niżankowski, Rafał Suwiński, Adam Maciejczyk i Maciej Karaszewski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 8 głosami „za”, przy 1 głosie wstrzymującym, z uwagi na konflikt interesów (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 1 do protokołu).

**Ad 3.** Analityk Agencji podsumował najważniejsze informacje o leku Suliqua (wniosek refundacyjny) we wskazaniu dot. cukrzycy typu 2, po czym głos zabrali: Tomasz Pasiński, Maciej Karaszewski i Rafał Niżankowski.

Rafał Niżankowski zwrócił uwagę na fakt, że oceniany wniosek wpłynął do Ministra Zdrowia po 1 marca br., w związku z czym zostanie rozpatrzony przez Radę także pod kątem danych określonych przez Wnioskodawcę jako tajemnica przedsiębiorcy.

Propozycję stanowiska przedstawił Tomasz Pasiński, a w dyskusji Rady uczestniczyli: Rafał Niżankowski, Michał Myśliwiec, Tomasz Pasiński i Maciej Karaszewski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 2 do protokołu).

**Ad 4.** Analityk Agencji podsumował najważniejsze informacje o leku Tremfya (wniosek refundacyjny) w ramach programu lekowego dot. łuszczycowego zapalenia stawów.

Rada wysłuchała stanowiska przedstawiciela pacjentów oraz eksperta z dziedziny medycyny, który odpowiadał także na pytania Rady.

Propozycję stanowiska Rady przedstawił Maciej Karaszewski. W dyskusji Rady, w wyniku której zmodyfikowano treść uchwały, uczestniczyli: Rafał Niżankowski, Maciej Karaszewski i Michał Myśliwiec.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 3 do protokołu).

Przewodniczący zgłosił wniosek o przyjęcie uchwały, zgodnie z którą w podjętych na posiedzeniu w dniu 1 sierpnia br. stanowiskach Rady z pkt 2. i 3. porządku obrad nie zostaną zakreślone żadne dane. Rada jednogłośnie przejęła ww. uchwałę (9 osób obecnych).

**Ad 5.** Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 12:15.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 68/2022 z dnia 1 sierpnia 2022 roku  
w sprawie oceny leku Onureg (azacitidine)  
w ramach programu lekowego: „Leczenie chorych  
na ostrą białaczkę szpikową (ICD-10 C92.0)”

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktów leczniczych:*

- *Onureg, Azacitidine, Tabletki powlekane, 300 mg, 7, tabl., kod GTIN: 07640133688442,*
- *Onureg, Azacitidine, Tabletki powlekane, 200 mg, 7, tabl., kod GTIN: 07640133688435,*

*w ramach programu lekowego: B.114 „Leczenie chorych na ostrą białaczkę szpikową (ICD-10 C92.0)”, w ramach nowej grupy limitowej i wydawanie ich bezpłatnie, pod warunkiem zdecydowanego pogłębienia instrumentów dzielenia ryzyka.*

*Rada nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego.*

### **Uzasadnienie**

#### Problem decyzyjny

*Do niedawna znaczenie standardowego leczenia podtrzymującego u chorych na ostrą białaczkę szpikową poddanych intensywnej terapii konsolidującej uznawano za kontrowersyjne (polskie wytyczne praktyki klinicznej PTOK 2020).*

*Sytuację zmieniły wyniki zastosowania doustnej azacytydyny jako terapii podtrzymującej w pierwszej remisji u pacjentów z ostrą białaczką szpikową opublikowane w NEJM w grudniu 2020 r. (wyniki próby klinicznej QUAZAR AML-001).*

*Problem decyzyjny sprowadza się do pytania, czy należy finansować ze środków publicznych włączenie azacytydyny (lek Onureg) do programu lekowego leczenia ostrej białaczki szpikowej.*

#### Dowody naukowe

*W badaniu QUAZAR AML-001 u 472 pacjentów w wieku 55 do 86 lat życia, przy medianie obserwacji 41,2 miesiąca, mediana przeżycia w grupie placebo wyniosła 14,8 miesiąca (95% CI, 11,7-17,6), a w grupie otrzymującej 300mg azacytydyny 24,7 miesiąca (95% CI, 18,7 - 30,5), a zatem różnica wyniosła*



9,9 miesiąca. Przy tym krzywe Kaplana-Meiera wykazują brak proporcjonalności hazardów, gdyż po początkowym rozejściu zaczynają się zbiegać w późniejszych punktach czasowych.

#### Problem ekonomiczny

Koszty leku Onureg podane przez wnioskodawcę są bardzo wysokie. Obliczony przez niego współczynnik kosztów użyteczności zdrowotnej znacznie przekracza próg ustawowy i jest nieakceptowalny.

Przyjęte założenia w analizie ekonomicznej wnioskodawca stara się ukryć przed opinią publiczną poprzez zakreślenia w materiałach publikowanych. Zwiększa to niepewność co do zgodności kosztów, które miałby ponosić płatnik publiczny z kosztami wyliczonymi w analizie wnioskodawcy.

#### Główne argumenty decyzji

Koszty uzyskania efektu zdrowotnego przekraczają przyjęty próg ustawowy. Istnieje niepewność czy w rzeczywistości nie byłyby jeszcze wyższe.

#### Uwaga Rady

Populacja przyjęta we wniosku refundacyjnym obejmuje pacjentów w wieku  $\geq 18$  r.ż., natomiast wyniki badania QUAZAR AML-001 dotyczyły pacjentów w wieku  $\geq 55$  r.ż.

W przypadku objęcia refundacją tej terapii należy monitorować jej skuteczność (czas do progresji choroby oraz przeżycie) w rzeczywistej praktyce klinicznej.

#### **Tryb wydania stanowiska**

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2022 r., poz. 463), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 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 analizy weryfikacyjnej nr: OT.4231.27.2022 „Wniosek o objęcie refundacją leku Onureg (azacytydyna doustna) we wskazaniu: Leczenie chorych na ostrą białaczkę szpikową (ICD-10 C92.0)”. Data ukończenia: 21 lipca 2022 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinie przedstawiciela pacjentów i eksperta przedstawione w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 69/2022 z dnia 1 sierpnia 2022 roku

w sprawie oceny leku Suliqua (insulinum glarginum + lixisenatidum) we wskazaniu: leczenie dorosłych pacjentów z niekontrolowaną cukrzycą typu 2 pomimo leczenia insuliną bazową (BI) w skojarzeniu z co najmniej jednym doustnym lekiem hipoglikemizującym (OAD) z HbA1c >7%

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktów leczniczych:

- Suliqua, Insulinum glarginum + Lixisenatidum, Roztwór do wstrzykiwań, 100 j./ml + 50 mcg/ml, 3 wstrzykiwacze 3 ml, kod GTIN: 05909991315924,
- Suliqua, Insulinum glarginum + Lixisenatidum, Roztwór do wstrzykiwań, 100 j./ml + 33 mcg/ml, 3 wstrzykiwacze 3 ml, kod GTIN: 05909991315948,

we wskazaniu: leczenie dorosłych pacjentów z niekontrolowaną cukrzycą typu 2 pomimo leczenia insuliną bazową (BI) w skojarzeniu z co najmniej jednym doustnym lekiem hipoglikemizującym (OAD) z HbA1c >7%.

#### Uzasadnienie

##### Problem decyzyjny

Produkt leczniczy Suliqua stanowi połączenie insuliny bazalnej z agonistą receptora glukagonopodobnego peptydu-1 (GLP-1). Zalecany jest dla osób otrzymujących insulinę, jeśli nie osiągnięto docelowych wartości glikemii, jego dodatkową zaletą są mniejsza utrata wagi i niższe ryzyko hipoglikemii w porównaniu do pojedynczego lub mnogiego wstrzyknięcia insuliny oraz mniejsza liczba iniekcji.

##### Dowody naukowe

Opierają się na dwóch badaniach RCT porównujących ocenianą interwencję, tj. lek Suliqua (insulina glargine + liksysenatyd, IGlarLixi) z wybranymi komparatorami:

- długodziałającym analogiem insuliny (LAA) – insuliną glargine (IGlar) – badanie LixiLan-L,
- mieszkanką insuliny (MIX) – insuliną dwufazową aspart 30 (BIAsp30) – badanie SoliMix.



*W badaniu LixiLan-L w 30-tygodniowym okresie obserwacji wykazano istotną statystycznie różnicę w redukcji poziomu HbA1c względem wartości wyjściowych, a także redukcję średniej masy ciała względem wartości wyjściowych.*

*W badaniu SoliMix w 26-tygodniowym okresie obserwacji wykazano, że wnioskowana interwencja nie jest gorsza od komparatora w redukcji poziomu HbA1c.*

*Wyniki porównań pośrednich również wskazują na istotną statystycznie różnicę na korzyść ocenianej interwencji w zakresie redukcji poziomu HbA1c względem wartości wyjściowych oraz w zakresie redukcji masy ciała.*

#### Problem ekonomiczny

*Wydanie pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych produktu leczniczego Suliqua spowoduje wzrost wydatków płatnika publicznego w perspektywie płatnika publicznego, przyjęcie populacji wynoszącej 10 tys. w I roku oraz 20 tys. w II roku wiązałoby się z kosztami inkrementalnymi kilkadziesiąt milionów złotych w pierwszym roku i ponad sto milionów złotych w drugim roku refundacji.*

#### Główne argumenty decyzji

- *Dostępność w Polsce agonistów receptora GLP-1 o udokumentowanych korzyściach klinicznych,*
- *Brak dowodów na wpływ wnioskowanego leku na istotne klinicznie punkty końcowe,*
- *Wzrost wydatków płatnika publicznego,*
- *Istotna różnica w poziomie refundacji w stosunku do innych agonistów GLP-1 i flozyn.*

#### Uwagi Rady

*W przedstawionej analizie wnioskodawca utajnił przed opinią publiczną dane dotyczące jakości życia, co zwiększa niepewność co do poprawności przedstawionych informacji.*

#### **Tryb wydania stanowiska**

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2022 r., poz. 463), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 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 analizy weryfikacyjnej nr: OT.4230.3.2022 „Wniosek o objęcie refundacją leku Suliqua (insulina glargine + liksysenatyd) we wskazaniu: leczenie dorosłych pacjentów z niekontrolowaną cukrzycą typu 2 pomimo leczenia insuliną bazową (BI) w skojarzeniu z co najmniej jednym doustnym lekiem hipoglikemizującym (OAD) z HbA1c >7%”. Data ukończenia: 21 lipca 2022 r.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 70/2022 z dnia 1 sierpnia 2022 roku  
w sprawie oceny leku Tremfya (guselkumab)  
w ramach programu lekowego:  
„Leczenie aktywnej postaci łuszczycowego zapalenia stawów (ŁZS  
(ICD-10 L40.5, M07.1, M07.2, M07.3))”

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Tremfya (guselkumab), roztwór do wstrzykiwań 100 mg/ml, 1 wstrzykiwacz 1 ml, GTIN 05413868116687, w ramach programu lekowego: „Leczenie aktywnej postaci łuszczycowego zapalenia stawów (ŁSZ) (ICD-10 L40.5, M07.1, M07.2, M07.3)”, w ramach istniejącej grupy limitowej 1212.0 i wydawanie go bezpłatnie, pod warunkiem obniżenia kosztów leczenia (pogłębienie instrumentu dzielenia ryzyka) z powodu rozszerzenia wskazań, a zatem i populacji, które mają być objęte refundacją.*

*Rada nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego.*

### Uzasadnienie

#### Problem decyzyjny

*Łuszczycowe zapalenie stawów (ŁZS, ang. psoriatic arthritis, PA, ICD-10: L40.5, M07.1, M07.2, M07.3) to przewlekła immunologiczna choroba zapalna stawów u chorych na łuszczycę, zaliczana do spondyloartropatii. Choroba ta dotyka ok. 30-90 tys. dorosłych pacjentów w Polsce (wartość zbliżona do rozpowszechnienia zeszytniającego zapalenia stawów kręgosłupa). ŁZS charakteryzuje się zróżnicowanym przebiegiem, który w większości przypadków jest postępujący, a u 20% pacjentów ciężki.*

*Najważniejsze leki stosowane w ŁZS to:*

- *niesteroidowe leki przeciwzapalne (NPLZ)*
- *glikokortykosteroidy*
- *leki modyfikujące działanie układu odpornościowego: metotreksat, sulfasalazyna, cyklosporyna, azatiopryna i leflunomid;*
- *leki biologiczne: etanercept, infliksymab, adalimumab, golimumab, certolizumab pegol, iksekizumab, sekukinumab, tofacytynib.*



*Leki biologiczne są refundowane w ramach programu lekowego: B.35 Leczenie czynnego łuszczycowego zapalenia stawów u osób dorosłych (ICD-10 L40.5, M07.1, M07.2, M07.3).*

#### Dowody naukowe

*Nie odnaleziono badań naukowych porównujących guselkumab z lekami biologicznymi, finansowanymi w ramach programu lekowego.*

*W trzech badaniach RCT: Discovery-1, Discovery-2, Cosmos, porównywano przez 24 tygodnie guselkumab z placebo. Guselkumab okazał się istotnie statystycznie lepszy niż placebo w zakresie ACR20/50/70, odsetka pacjentów z mPsARC, odsetka pacjentów z PASI 75/90/100. Guselkumab w ocenianym schemacie dawkowania okazał się istotnie statystycznie lepszy niż placebo w zakresie punktów końcowych dotyczących jakości życia.*

*Wyniki przeprowadzonego porównania wskazują na brak istotnych statystycznie różnic pomiędzy guselkumabem a placebo w zakresie częstości występowania jakichkolwiek zdarzeń niepożądanych, ciężkich zdarzeń niepożądanych, zdarzeń niepożądanych prowadzących do zakończenia leczenia, a także poważnych zdarzeń niepożądanych.*

*Wyniki porównania pośredniego z komparatorami:*

[Redacted content]

#### Problem ekonomiczny

*Stosowanie guselkumabu w miejsce leków z programu: Leczenie czynnego łuszczycowego zapalenia stawów u osób dorosłych (ICD-10 L40.5, M07.1, M07.2, M07.3) jest*

[Redacted content]

*Refundacja guselkumabu łączyć się będzie z dodatkowymi kosztami dla płatnika publicznego (po uwzględnieniu RSS) w wysokości [Redacted] w pierwszym roku refundacji i [Redacted] w kolejnym.*

#### Główne argumenty decyzji



- Lek jest refundowany w programie leczenia łuszczycy plackowatej,
- Dostępne badania pośrednie wskazują [REDACTED],
- ICER przy zaproponowanym RSS, w stosunku do komparatorów [REDACTED]

#### **Tryb wydania stanowiska**

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2022 r., poz. 463), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 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 analizy weryfikacyjnej nr: OT.4331.26.2022 „Tremfya (guselkumab) w leczeniu czynnego łuszczycowego zapalenia stawów u osób dorosłych (ICD-10 L40.5, M07.1, M07.2, M07.3)”. Data ukończenia: 19 lipca 2022 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinie przedstawicieli pacjentów i eksperta przedstawione w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy Janssen-Cilag Polska sp. z o.o.

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem Janssen-Cilag Polska 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:** Janssen-Cilag Polska sp. z o.o.