



BP.401.33.2024.PP

**Protokół z posiedzenia
Rady Przejrzystości 38/2024
w dniu 9 września 2024 roku**

Maciej Karaszewski otworzył posiedzenie o godzinie 10:00.

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

1. Andrzej Dąbrowski
2. Paweł Grzesiewski
3. Roman Junik
4. Maciej Karaszewski
5. Marcin Kołakowski
6. Marcin Lipowski
7. Ewa Obuchowicz
8. Tomasz Pasierski
9. Jacek Rubik

Nieobecni członkowie Rady:

1. Artur Bachta

Proponowany porządek obrad:

1. Omówienie powiązań branżowych i ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie stanowiska w sprawie zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej „Oznaczanie stężenia wapnia całkowitego w surowicy krwi (ICD9:077:077)” jako świadczenia gwarantowanego.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Livtencity (maribavirum) w ramach programu lekowego „Leczenie pacjentów z niereagującym lub opornym na leczenie zakażeniem wirusem cytomegalii (CMV) (ICD-10: B25.0, B25.1, B25.8, B25.9)”.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Calquence (acalabrutinibum) w ramach programu lekowego B.79 „Leczenie chorych na przewlekłą białaczkę limfocytową (ICD-10: C91.1)”.
5. Zakończenie posiedzenia.

Ad 1. Marcin Lipowski zgłosił konflikt interesów dotyczący punktów 3 i 4 porządku obrad. Tomasz Pasierski zgłosił konflikt interesów dotyczący punktu 4. Wobec tych

informacji ich głos będzie liczony jako „wstrzymujący”. Żaden z pozostałych członków Rady nie zgłosił konfliktu interesów.

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

Ad 2. Analityk Agencji omówił główne informacje z raportu w sprawie zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej „Oznaczanie stężenia wapnia całkowitego w surowicy krwi (ICD9:077: O77)” jako świadczenia gwarantowanego.

W dyskusji Rady głos zabrali: Andrzej Dąbrowski, Tomasz Pasierski, Maciej Karaszewski.

Projekt stanowiska Rady przedstawiła Ewa Obuchowicz.

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym uczestniczyli: Tomasz Pasierski, Maciej Karaszewski, Ewa Obuchowicz.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 głosów „za”) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 1 do protokołu).

Ad 3. Analityk Agencji zaprezentował kluczowe dane odnoszące się do produktu leczniczego Livtencity (maribavirum) w ramach programu lekowego „Leczenie pacjentów z niereagującym lub opornym na leczenie zakażeniem wirusem cytomegalii (CMV) (ICD-10: B25.0, B25.1, B25.8, B25.9)”.

Projekt stanowiska Rady przedstawił Roman Junik.

W dyskusji udział wzięli: Andrzej Dąbrowski, Maciej Karaszewski, Tomasz Pasierski, Roman Junik, Ewa Obuchowicz, Jacek Rubik.

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym uczestniczyli: Maciej Karaszewski, Roman Junik, Andrzej Dąbrowski, Tomasz Pasierski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 7 głosami „za”, 1 głosem „przeciw” oraz 1 głosem „wstrzymującym” uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 2 do protokołu).

Ad 4. Analityk Agencji przedstawił kluczowe dane odnoszące się do produktu leczniczego Calquence (acalabrutinibum) w ramach programu lekowego B.79 „Leczenie chorych na przewlekłą białaczkę limfocytową (ICD-10: C91.1)”.

Rada wysłuchała stanowiska eksperta.

Projekt stanowiska Rady przedstawił Jacek Rubik.

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym uczestniczyli: Maciej Karaszewski, Jacek Rubik, Tomasz Pasierski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 7 głosami „za”, 2 głosami „wstrzymującymi” uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 3 do protokołu).

Ad 5. Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 12:21.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 90/2024 z dnia 9 września 2024 roku
w sprawie zasadności kwalifikacji świadczenia opieki zdrowotnej
„Oznaczanie stężenia wapnia całkowitego w surowicy krwi.
ICD-9: O77”, wykonywanego na zlecenie lekarza POZ, jako
świadczenia gwarantowanego

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „Oznaczanie stężenia wapnia całkowitego w surowicy krwi. ICD-9: O77”, wykonywanego na zlecenie lekarza POZ, jako świadczenia gwarantowanego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wprowadzenie badania laboratoryjnego „Oznaczanie stężenia wapnia całkowitego w surowicy krwi. ICD-9: O77” jako świadczenia gwarantowanego z zakresu podstawowej opieki zdrowotnej (POZ). Do 31 grudnia 2014 r. badanie to było ujęte w wykazie katalogu świadczeń gwarantowanych z zakresu POZ. Natomiast obecnie badanie oznaczania wapnia całkowitego w surowicy krwi znajduje się w wykazie świadczeń gwarantowanych określonym w rozporządzeniu Ministra Zdrowia w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej. Skutkiem tego ocena kalcemii w surowicy krwi przez lekarza POZ jest możliwa wyłącznie poprzez oznaczenie stężenia wapnia zjonizowanego, którego finansowanie odbywa się w ramach rocznej stawki kapitacyjnej. Oznaczenie stężenia wapnia zjonizowanego w praktyce ma bardzo ograniczone znaczenie, co wynika z dużego ryzyka popełnienia błędów jeszcze przed przekazaniem materiału do laboratorium i w konsekwencji uzyskania mało wiarygodnego wyniku. W ubiegłym roku w ramach ambulatoryjnej opieki specjalistycznej zlecono oznaczenie stężenia wapnia w surowicy krwi u 620,2 tys. pacjentów, w tym: 574,4 tys. pacjentów otrzymało świadczenia z oznaczaniem stężenia wapnia całkowitego, a ok. 77,3 tys. – świadczenia z oznaczaniem stężenia wapnia zjonizowanego.

Dowody naukowe

W organizmie człowieka wapń jest pierwiastkiem kluczowym dla wielu procesów biochemicznych. Wskazaniem do wykonania badania stężenia wapnia w surowicy krwi jest diagnostyka zaburzeń gospodarki wapniowej. Badanie stężenia wapnia całkowitego ma zastosowanie w różnych grupach pacjentów: z hipokalcemią i niedoczynnością przytarczyc, hiperkalcemią, przewlekłą chorobą nerek (szczególnie u pacjentów na dializie), z osteoporozą czy chorobami nowotworowymi (szpiczak mnogi, nowotwory z przerzutami do kości); u dzieci z zaburzeniami gospodarki wapniowej, w profilaktyce krzywicy. Badanie to najczęściej jest wykonywane w grupie osób starszych z grupy 65+ z powodu podwyższonego ryzyka hiperkalcemii, osteoporozy oraz zaburzeń związanych z chorobami przewlekłymi. Oznaczenie stężenia wapnia w praktyce klinicznej jest często kluczowym badaniem diagnostycznym, a w przypadku diagnostyki osteoporozy jest jednym z elementów schematu diagnostyki różnicowej. Częstotliwość wykonywania badań stężenia wapnia całkowitego zależy od konkretnej jednostki chorobowej, stanu pacjenta oraz ryzyka powikłań, a w wielu przypadkach zaleca się badania od kilku razy w roku do nawet co kilka tygodni, zwłaszcza w stanach niestabilnych lub w fazie intensywnej terapii. Badanie stężenia wapnia całkowitego w surowicy krwi w ramach podstawowej opieki zdrowotnej (POZ) pomaga w podejmowaniu decyzji dotyczących dalszej diagnostyki i leczenia pacjentów.

Problem ekonomiczny

Wydatki płatnika publicznego nie powinny ulec zmianie – w związku z tym, że oceniane badanie diagnostyczne byłoby włączone do wykazu świadczeń medycznej diagnostyki laboratoryjnej lub diagnostyki obrazowej i nieobrazowej związanych z realizacją świadczeń lekarza POZ, które są finansowane w ramach rocznej stawki kapitałowej.

Główne argumenty decyzji

- 1) Wprowadzenie przedmiotowego badania do katalogu świadczeń gwarantowanych z zakresu POZ spowoduje, że stanie się ono badaniem szeroko dostępnym i szybko realizowanym, co jest kluczowe w efektywnej diagnostyce i monitorowaniu stanów związanych z zaburzeniami stężenia wapnia. Spodziewanym efektem może być znacząca poprawa jakości życia pacjentów poprzez szybką interwencję w przypadku wykrycia nieprawidłowości w poziomie kalcemii, co z kolei może zapobiegać poważniejszym konsekwencjom zdrowotnym, nawet przedwczesnym zgonom z powodu powikłań osteoporotycznych czy kardiologicznych.
- 2) Zmniejszenie kosztów zdrowotnych poprzez redukcję liczby hospitalizacji i kosztownych interwencji wynikających z zaawansowanych stanów

chorobowych związanych z zaburzeniami gospodarki wapniowej powinno być korzyścią dla płatnika.

- 3) Wymogi techniczne i organizacyjne wobec oznaczania stężenia całkowitego są mniej rygorystyczne niż w przypadku wapnia zjonizowanego (warunki związane z pobraniem, przechowywaniem i transportem próbek, czy też dostępem do odpowiednich analizatorów i czasem analizy).*
- 4) Liczba laboratoriów diagnostycznych w Polsce, które dysponują możliwościami oznaczania stężenia wapnia całkowitego w surowicy krwi w porównaniu do liczby laboratoriów mogących oznaczać stężenie wapnia zjonizowanego, jest znacznie wyższa.*

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31c ust. 6 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem Raportu w sprawie oceny świadczenia opieki zdrowotnej nr: WS.420.13.2024 „Oznaczanie stężenia wapnia całkowitego w surowicy krwi (ICD-9: O77) – ocena zasadności wprowadzenia badania wykonywanego na zlecenie lekarza POZ jako świadczenia gwarantowanego z zakresu podstawowej opieki zdrowotnej”, data ukończenia: 05.09.2024 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 91/2024 z dnia 9 września 2024 roku
w sprawie oceny leku Livtency (maribavirum) w ramach programu
lekowego „Leczenie pacjentów z niereagującym lub opornym
na leczenie zakażeniem wirusem cytomegalii (CMV)
(ICD-10: B25.0, B25.1, B25.8, B25.9)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Livtency (maribavirum), tabletki powlekane 200 mg, 28 tabletek, kod GTIN: 07038319161382, w ramach programu lekowego „Leczenie pacjentów z niereagującym lub opornym na leczenie zakażeniem wirusem cytomegalii (CMV) (ICD-10: B25.0, B25.1, B25.8, B25.9)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Zakażenie CMV może przebiegać bezobjawowo albo w postaci cytomegalii (choroby cytomegalowirusowej). Postaci narządowe zakażenia CMV występują najczęściej u osób w stanie immunosupresji, a przebieg choroby cytomegalowirusowej jest u nich bardziej agresywny. Zakażenie CMV jest szczególnie niebezpieczne u osób po SOT lub HSCT (zwłaszcza allogenicznym). Choroba wywołana cytomegalowirusem pojawia się między 30-100 dniem po przeszczepie. Typowe objawy choroby to tzw. zespół CMV, na który składają się: gorączka, złe samopoczucie i osłabienie, ból mięśni i stawów, atypowa limfocytoza, leukopenia, neutropenia, trombocytopenia i zwiększona aktywność aminotransferaz w surowicy. Choroby narządów wywołane CMV to: choroba przewodu pokarmowego, zapalenie płuc, zapalenie wątroby, zapalenie nerek, zapalenie mięśnia sercowego, zapalenie trzustki, zapalenie mózgu czy zapalenie siatkówki. Cytomegalowirus ma tendencję do inwazji alloprzeszczepów, dlatego też częściej powoduje zapalenie wątroby u biorców wątroby, zapalenie nerek u biorców nerek, czy też zapalenie płuc u biorców płuc.

Rozwój oporności na obecnie dostępne leki przeciwwirusowe może prowadzić do odrzucenia przeszczepu, a nawet śmierci pacjenta. Choroba oporna na gancyklowir, jeden z dotychczas stosowanych leków anty-CMV, stanowiła 20% chorób wywołanych cytomegalowirusem, była związana z większą immunosupresją i została uznana za poważny problem kliniczny.

Zakażenie CMV jest związane ze zwiększonym ryzykiem powikłań, tj. bakteriemii, inwazyjnej choroby grzybiczej, potransplantacyjnych zespołów limfoproliferacyjnych (PTLD), odrzuceniem przeszczepu, rozwojem przewlekłej nefropatii w nerce przeszczepionej, włóknieniem śródmiąższowym nerek, zanikiem kanalików nerkowych, czy rozwojem choroby naczyń (m.in. stwardnienia naczyniowego przeszczepu).

Zapalenie płuc, zakażenie przewodu pokarmowego lub OUN u osoby w stanie immunosupresji po HSCT wiąże się z dużym ryzykiem zgonu, niezwiązanym z nawrotem choroby podstawowej.

Zakażenie CMV definiowane jest jako izolacja wirusa lub wykrywanie białek/kwasu nukleinowego wirusa w dowolnym płynie ustrojowym lub próbce tkanki, niezależnie od występowania objawów. Natomiast chorobie wywołanej ludzkim cytomegalowirusem towarzyszą objawy kliniczne. Przy braku profilaktyki lub terapii uprzedzającej przeszczep narządu litego lub komórek macierzystych zakażenie CMV występuje nawet w 40-80% przypadków. Zakażenie CMV po przeszczepie wiąże się ze znaczną zachorowalnością, wyższym ryzykiem śmiertelności i zwiększonymi kosztami opieki. U osób po HSCT śmiertelność związana z zakażeniem CMV wynosi 10–75%. Nielezione zapalenie płuc wywołane przez cytomegalowirusa skutkuje ponad 50% śmiertelnością biorców HSCT. Zapobiegawczo lub leczniczo można zastosować leczenie (wal)gancyklowirem. Alternatywnie, można również stosować foscarnet lub cydofowir. MBV jest lekiem drugiej lub następnej linii u chorych, u których podczas leczenia rozwinęła się oporność na w/w leki. Również w trakcie leczenia MBV istnieje ryzyko rozwinęcia oporności.

Charakterystyka ocenianego produktu leczniczego: Nazwa handlowa: Livtency (maribawir), tabletki powlekane, 200 mg, 28 szt., podanie doustne. Substancja czynna: maribawir. Wskazanie: Leczenie zakażenia wirusem cytomegalii (CMV) u pacjentów po przeszczepieniu krwiotwórczych komórek macierzystych lub narządu litego (ICD-10: B25.0, B25.1, B25.8, B25.9).

Produkt leczniczy posiada status leku sierocego. Decyzja wykonawcza KE na mocy rozporządzenia (WE) nr 141/2000 Parlamentu Europejskiego i Rady:

Mechanizm działania: Maribawir jest konkurencyjnym inhibitorem kinazy białkowej UL97. Inhibicja UL97 występuje w fazie replikacji wirusowego DNA, co powoduje zahamowanie kinazy serynowo-treoninowej UL97 poprzez konkurencyjne hamowanie wiązania ATP z miejscem wiązania ATP kinazy, bez wpływu na proces dojrzewania konkatemeru, znosząc działanie fosfotransferazy hamującej replikację i dojrzewanie DNA CMV, enkapsydację DNA CMV oraz wydostawanie się DNA CMV z jądra komórkowego.

Leczenie należy kontynuować do momentu podjęcia przez lekarza prowadzącego decyzji o wyłączeniu świadczeniobiorcy z programu, zgodnie z kryteriami wyłączenia z programu.

Leczenie trwa 8 tygodni (± 2 dni), z możliwością przedłużenia do maksymalnie 12 tygodni (± 2 dni). Dawkowanie: 2x2 tabl. a 200 mg.

Dowody naukowe

Wyniki III fazy badania SOLISTICE (14 publikacji), Avery 2010, Alain 2013, Bruminbert 2020, Kleiboeken 2022, Papanicolau 2019. Potwierdzono eliminację wiremii pod koniec 8 tygodnia leczenia pacjentów po HSCT i SOT. W ramieniu MBV 235 chorych, IAT – 117, 40% HSCT, 60% SOT. Brak różnic w zakresie czasu do wystąpienia zgonu. Nie badano chorych poniżej 18 r.ż. (aczkolwiek uwzględniono możliwość stosowania od 12 r.ż.), z zakażeniem OUN i siatkówki.

Polskie Towarzystwo Transplantacyjne: maribawir szybciej eliminuje wiremię i szybciej powoduje kontrolę objawów oraz rzadsze przerwanie leczenia.

Rekomendacje refundacyjne są rozbieżne:

Pozytywna – francuska HAS z 2023 r. – zwrócono uwagę na cenę, korzyści uznano za niewielkie, przeżywalność MBV = IAT.

Warunkowo pozytywne – CADTH 2022, NICE 2023, SMC 2023 – pod warunkiem obniżenia ceny.

Negatywne – PBAC 2023, TLV 2023 – dowody kliniczne były obarczone niepewnością.

Problem ekonomiczny

Lek jest nieefektywny kosztowo. Ewentualna refundacja łączyłaby się z wydatkami płatnika publicznego na poziomie kilkudziesięciu milionów rocznie.

Główne argumenty decyzji

- Wątpliwa skuteczność kliniczna.*
- Brak efektywności kosztowej.*
- Rozbieżne rekomendacje refundacyjne.*

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 2024 r., poz. 930 z późn. zm.), 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 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OT.423.1.40.2024 „Wniosek o objęcie refundacją leku Livtencity (maribawir) w ramach programu lekowego »Leczenie pacjentów z niereagującym lub opornym na leczenie zakażeniem wirusem cytomegalii (CMV) (ICD-10: B25.0, B25.1, B25.8, B25.9)«”, data ukończenia: 29 sierpnia 2024 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 92/2024 z dnia 9 września 2024 roku
w sprawie oceny leku Calquence (acalabrutinibum) w ramach
programu lekowego „Leczenie chorych na przewlekłą białaczkę
limfocytową (ICD-10: C91.1)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Calquence (acalabrutinibum), tabl. powł., 100 mg, 60, szt. kod GTIN: 05000456071116, w ramach programu lekowego „Leczenie chorych na przewlekłą białaczkę limfocytową (ICD-10: C91.1)”, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie.

*Rada Przejrzystości nie zgłasza uwag do propozycji instrumentu dzielenia ryzyka.
Rada nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego.*

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Wnioskowana zmiana w programie polega na rozszerzeniu wskazań refundacyjnych dla acalabrutynibu i zniesieniu wymagań dotyczących obecności delekcji 17p (del17p) / mutacji w genie TP53 (mutTP53) lub niezmutowanego statusu IgHV. Spowoduje to zwiększenie populacji leczonych acalabrutynibem o część chorych leczonych innymi lekami w ramach programu lekowego B.79, nie kwalifikujących się wcześniej do leczenia tym lekiem. Obecność del (17p) i/lub mutacji genu TP53 świadczy o niekorzystnym rokowaniu i oporności na standardową immunochemioterapię, podobnie jak brak mutacji IGHV również świadczy o gorszym rokowaniu. Rozszerzone wskazania, a właściwie zniesienie ograniczeń w kwalifikacji do programu, są zgodne ze wskazaniami zapisanymi w Charakterystyce Produktu Leczniczego (ChPL).

Obecnie ze środków publicznych w omawianym wskazaniu refundowane są:

- B.79: acalabrutinibum, ibrutinibum, obinutuzumabum, venetoclaxum i zanubrutinibum;*
- C: leki, stosowane w ramach chemioterapii w całym zakresie zarejestrowanych wskazań i przeznaczeń oraz we wskazaniu określonym stanem klinicznym we wskazaniu określonym kodem ICD-10 C91.1 Przewlekła białaczka limfocytowa: bleomycin sulphate,*

chlorambucilum, cisplatinum, cladribinum, cyclophosphamidum, cytarabinum, dacarbazine, doxorubicinum, epirubicinum, etoposidum, fludarabinum, ifosfamidum, mercaptopurinum, methotrexatum, pegaspargasum, rituximabum, tioguaninum, vincristinum, bendamustinum hydrochloridum (w przypadku: a) przewlekłej białaczki limfocytowej (stadium choroby B lub C wg klasyfikacji Bineta) – leczenie I rzutu u chorych, u których nie jest zalecane stosowanie schematów chemioterapii zawierających fludarabinę, b) przewlekłej białaczki limfocytowej - leczenie II i następnych linii u chorych w stanie ogólnym 2 lub lepszym wg skali WHO, opornych na wcześniej zastosowane leczenie, które nie obejmowało bendamustyny).

Dowody naukowe

W analizie skuteczności i bezpieczeństwa jako komparatory wskazano leki finansowane obecnie w ramach programu lekowego B.79: wenetoklaks + obinutuzumab, ibrutynib + wenetoklaks, zanubrutynib i obinutuzumab + chlorambucyl.

Wyniki z badania RCT ELEVATE-TN, świadczyły o istotnym statystycznie, 80% mniejszym ryzyku wystąpienia progresji lub zgonu w grupie akalabrutynibu w porównaniu do skojarzenia obinutuzumabu i chlorambucylu, HR=0,20 (0,13; 0,30), p<0,0001.

Dodatkowo do analizy klinicznej wnioskodawcy włączono 6 opracowań, w tym 5 przeglądów systematycznych z metaanalizą sieciową: Alrawashdh 2021, Davids 2020, Molica 2023, Molica 2021 i Rizzuto 2023 oraz 1 parasolowy przegląd systematyczny (umbrella review), przedstawiający syntezę wyników opublikowanych metaanaliz oraz metaanaliz sieciowych: Marchetti 2022. Wszystkie otrzymały krytycznie niską ocenę wiarygodności. W wynikach tych badań nie odnotowano istotnych różnic między wnioskowaną technologią i komparatorami w zakresie skuteczności w ocenie punktów końcowych, jak też podstawowych parametrów bezpieczeństwa leczenia.

Odnaleziono 6 rekomendacji refundacyjnych pozytywnych (PBAC 2023, NICE 2021, SMC 2021, CADTH 2021, HAS 2021, HAS 2023) i 4 rekomendacje negatywne (PBAC 2020, PBAC 2021, HAS 2021, HAS 2023). W rekomendacjach pozytywnych zwraca się głównie uwagę na korzyści kliniczne akalabrutynibu w porównaniu do chlorambucylu skojarzonego z obinutuzumabem, czy wyniki CMA porównujące akalabrutynib z wenetoklaksem w skojarzeniu z obinutuzumabem. W rekomendacjach negatywnych zwraca się głównie uwagę na niekorzystne wyniki analizy CUA porównującej akalabrutynib z chlorambucylem w skojarzeniu z obinutuzumabem.

Wytyczne kliniczne NCCN 2024, PTHiT i PALG-CLL 2023, ESMO 2024 były pozytywne.

Problem ekonomiczny

W wariancie analizy wpływu na budżet uwzględniającym RSS, w przypadku podjęcia decyzji o finansowaniu produktu leczniczego Calquence w ramach wnioskowanego programu lekowego w rozszerzonych wskazaniach refundacyjnych, prognozowane całkowite wydatki płatnika zmniejszą się w kolejnych latach analizy o [] zł w 1. roku oraz o [] zł w 2. roku analizy względem scenariusza istniejącego, co wiąże się z prawdopodobnym przejściem przez Calquence udziałów droższych leków (głównie zanubrutynibu). Wyniki analizy wrażliwości wykazały, że najistotniejszym czynnikiem różnicującym jest horyzont analizy – od wzrostu oszczędności do wzrostu kosztów.

Główne argumenty decyzji

- Zwiększenie dostępności leczenia dla pacjentów, nie spełniających dotychczas warunków kwalifikacji do programu lekowego.
- Porównywalna lub większa skuteczność z komparatorami, potwierdzona w badaniach naukowych.
- Pozytywne rekomendacje i wytyczne towarzystw naukowych.
- Refundacja leku w tożsamym wskazaniu w większości krajów.
- Efektywność kosztowa proponowanej zmiany związanej z rozszerzeniem refundacji, pod warunkiem zastosowania proponowanego RSS.

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 2024 r., poz. 930 z późn. zm.), 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 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OT.423.1.39.2024 „Wniosek o objęcie refundacją leku Calquence (akalabrutynib) we wskazaniu: Przewlekła białaczka limfocytowa (ICD-10: C91.1)”, data ukończenia: 30 sierpnia 2024 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia eksperta przedstawiona w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (AstraZeneca AB).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem (AstraZeneca AB) 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 z późn. zm.) 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), art. 35 ust. 4a-4b ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. z 2024 r. poz. 930 z późn. zm.) i art. 35a ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. z 2024 r. poz. 930 z późn. zm.).

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

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: AstraZeneca AB.