



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 25/2022 z dnia 21 lutego 2022 roku
w sprawie technologii lekowych ocenianych pod kątem
uwzględnienia na wykazie technologii lekowych o wysokim poziomie
innowacyjności

Rada Przejrzystości rekomenduje uwzględnienie w wykazie technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności następujących pozycji, spośród przedstawionych przez Agencję do oceny Rady:

w pierwszej kolejności (kategoria A):

- 1. Bylvay (odewiksybat) we wskazaniu: postępująca rodzinna cholestaza wewnątrzwątrobowa (ang. progressive familial intrahepatic cholestasis, PFIC) u pacjentów w wieku od 6 miesięcy.*
- 2. Enspryng (satralizumab) we wskazaniu: choroby ze spektrum zapalenia nerwów wzrokowych oraz rdzenia kręgowego (zespół Devic'a), monoterapia lub w skojarzeniu z terapią immunosupresyjną u pacjentów dorosłych i młodzieży w wieku powyżej 12 lat, u których występują przeciwciała IgG przeciwko akwaporynie-4 (AQP4-IgG).*
- 3. Koselugo (selumetynib) we wskazaniu: leczenie objawowych, nieoperacyjnych nerwiakowłókniaków splotowatych (ang. plexiform neurofibromas, PN) u dzieci i młodzieży w wieku 3 lat i starszych z neurofibromatozą typu 1 (NF1).*
- 4. Minjuvi (tafasytamab) we wskazaniu: nawrotowa albo oporna na leczenie postać chłoniaka nieziarniczego rozlanego z dużych komórek B (diffuse large B-cell lymphoma, DLBCL), w skojarzeniu z lenalidomidem, a następnie w monoterapii w leczeniu pacjentów dorosłych, którzy nie kwalifikują się do autologicznego przeszczepu komórek macierzystych (autologous stem cell transplant, ASCT).*
- 5. Retsevmo (selperkatynib) we wskazaniu: zaawansowany rak rdzeniasty tarczycy (RRT) z mutacją w genie RET, w monoterapii, u dorosłych i młodzieży w wieku co najmniej 12 lat, którzy wymagają terapii systemowej po wcześniejszym leczeniu kabozantynibem i (lub) wandetanibem.*
- 6. Voxzogo (wosorytyd) we wskazaniu: achondroplazja u pacjentów w wieku co najmniej 2 lat, których nasady kości długiej nie są zamknięte.*



7. *Trodely (sacytuzumab gowitekan)* we wskazaniu: *nieresekcyjny lub przerzutowy potrójnie ujemny rak piersi (ang. metastatic triple-negative breast cancer, mTNBC), w monoterapii, u dorosłych pacjentów, którzy wcześniej otrzymali co najmniej dwie linie leczenia systemowego, w tym co najmniej jedną w zaawansowanej chorobie.*

w drugiej kolejności (kategoria A/B):

1. *Libmeldy (atidarsagen autotemcel)* we wskazaniu: *leukodystrofia metachromatyczna (ang. metachromatic leukodystrophy, MLD) odznaczająca się dwuallelowymi mutacjami genu arylosulfatazy A prowadzącymi do zmniejszenia aktywności enzymatycznej ARSA, w przypadku: - dzieci z późnymi niemowlęcymi albo wczesnymi młodzieńczymi postaciami choroby, bez objawów klinicznych choroby; - dzieci z wczesną młodzieńczą postacią choroby, z wczesnymi objawami klinicznymi choroby, mogące nadal poruszać się samodzielnie, przed pojawieniem się zaburzenia funkcji poznawczych.*
2. *Fintepla (fenfluramina (fenfluraminy chlorowodorek))* we wskazaniu: *napady padaczkowe związane z zespołem Dravet, jako dodatek do leczenia innymi lekami przeciwpadaczkowymi u pacjentów w wieku od 2 lat.*
3. *Tecartus (autologiczne transdukowane anty-CD19 komórki CD3-dodatnie)* we wskazaniu: *nawrotowy lub oporny na leczenie chłoniak z komórek płaszczka (ang. mantle cell lymphoma, MCL) u dorosłych pacjentów, którzy uprzednio otrzymali co najmniej dwie linie leczenia systemowego, w tym inhibitor kinazy tyrozynowej Brutona (ang. Bruton's tyrosine kinase, BTK).*

w trzeciej kolejności (kategoria B):

1. *Abecma (idecabtagen wikleucel)* we wskazaniu: *nawrotowy i oporny na leczenie szpiczak mnogi, w leczeniu dorosłych pacjentów, u których stosowano wcześniej co najmniej trzy metody leczenia, w tym lek immunomodulujący, inhibitor proteasomu i przeciwciało anty-CD38, i wykazano progresję choroby podczas ostatnio stosowanego leczenia.*
2. *Brukinsa (zanubrutynib)* we wskazaniu: *makroglobulinemia Waldenströma, u dorosłych pacjentów, którzy wcześniej stosowali co najmniej jedną metodę leczenia, albo w leczeniu pierwszego rzutu u pacjentów, którzy nie kwalifikują się do stosowania chemioimmunoterapii.*
3. *Enhertu (trastuzumab derukstekan)* we wskazaniu: *HER2-dodatni raki piersi, nieoperacyjny lub przerzutowy, monoterapia dorosłych pacjentów, którzy otrzymali dwa lub więcej schematów leczenia opartych na anty-HER2.*
4. *Gavreto (pralsetynib)* we wskazaniu: *RET-dodatni (ang. Rearranged During Transfection, RET) zaawansowany niedrobnokomórkowy rak płuca (NDRP),*

w monoterapii u pacjentów dorosłych nieleczonych wcześniej inhibitorem RET.

5. *Imcivree (setmelanotyd) we wskazaniu: otyłość i kontrola uczucia głodu towarzyszącego potwierdzonemu w badaniach genetycznych związanemu z bialleliczną utratą funkcji niedoborowi proopiomelanokortyny (POMC), w tym PCSK1, lub receptora leptyny (LEPR) u osób dorosłych i dzieci w wieku od 6 lat.*
6. *Jemperli (dostarlimab) we wskazaniu: nawrotowy lub zaawansowany rak endometrium z upośledzeniem naprawy nieprawidłowo sparowanych nukleotydów (ang. mismatch repair deficient, dMMR)/wysoką niestabilnością mikrosatelitarną (ang. microsatellite instability-high, MSI-H), który uległ progresji w trakcie lub po zakończeniu wcześniejszego schematu leczenia zawierającego platynę, w monoterapii w leczeniu dorosłych pacjentek.*
7. *Nexpovio (selineksor) we wskazaniu: szpiczak mnogi, w skojarzeniu z deksametazonem u dorosłych, u których wcześniej zastosowano co najmniej cztery metody leczenia i u których choroba okazała się oporna na leczenie co najmniej dwoma inhibitorami proteasomu, dwoma środkami immunomodulującymi oraz przeciwciałem monoklonalnym przeciwko CD38 i którzy wykazywali progresję choroby na ostatniej terapii.*
8. *Pemazyre (pemigatynib) we wskazaniu: miejscowo zaawansowany albo przerzutowy rak dróg żółciowych z fuzją albo rearanżacją receptora czynnika wzrostu fibroblastów 2 (fibroblast growth factor receptor 2, FGFR2), w monoterapii, w leczeniu osób dorosłych z u których wystąpiła progresja choroby po przynajmniej jednej wcześniejszej linii leczenia ogólnoustrojowego.*
9. *Retsevmo (selperkatynib) we wskazaniu: zaawansowany rak tarczycy z obecnością fuzji genu RET, u dorosłych, którzy wymagają terapii systemowej po wcześniejszym leczeniu sorafenibem i (lub) lenwatynibem.*
10. *Retsevmo (selperkatynib) we wskazaniu: zaawansowany, niedrobnokomórkowy rak płuca (NDRP) z obecnością fuzji genu RET, w monoterapii, u dorosłych, którzy wymagają terapii systemowej po wcześniejszej immunoterapii i (lub) chemioterapii opartej na związkach platyny.*
11. *Tukysa (tukatynib) we wskazaniu: HER2-dodatni miejscowo zaawansowany rak piersi lub HER2-dodatni rak piersi z przerzutami, w skojarzeniu z trastuzumabem i kapecytabiną u dorosłych pacjentów, którzy otrzymali co najmniej 2 schematy leczenia skierowanego przeciwko receptorowi HER2 w przeszłości.*

Rada Przejrzystości nie rekomenduje uwzględnienia w wykazie technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności następujących technologii:

1. Copiktra (duwelisyb) we wskazaniu: przewlekła białaczka limfocytowa (CLL) po wcześniejszym zastosowaniu co najmniej dwóch terapii.
2. Copiktra (duwelisyb) we wskazaniu: chłoniak grudkowy (FL) oporny na leczenie co najmniej dwiema wcześniejszymi terapiami układowymi.
3. Elzonris (tagraksofusp) we wskazaniu: nowotwór z blastycznych plazmacytoidalnych komórek dendrytycznych (ang. blastic plasmacytoid dendritic cell neoplasm – BPDCN), w monoterapii jako leczenie pierwszego rzutu pacjentów dorosłych.
4. Qinlock (ripretynib) we wskazaniu: zaawansowany nowotwór podścieliskowy przewodu pokarmowego (GIST), u dorosłych pacjentów, którzy byli wcześniej leczeni trzema lub więcej inhibitorami kinazy, w tym imatynibem.
5. Ryego (relugoliks, estradiol, octan noretysteronu) we wskazaniu: umiarkowane do ciężkie objawy mięśniaków macicy u dorosłych kobiet w wieku rozrodczym.
6. Sogroya (somapacitan) we wskazaniu: niedobór endogennego hormonu wzrostu (ang. Adult Growth Hormone Deficiency, AGHD), w terapii zastępczej hormonem wzrostu u dorosłych.

Uzasadnienie

Dokonując wyboru technologii spośród zakwalifikowanych przez AOTMiT do oceny w ramach opracowania wykazu technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności, w zakresie chorób onkologicznych i chorób rzadkich, Rada Przejrzystości kierowała się następującymi kryteriami:

- Istotność schorzenia (lub wskazania szczegółowego), na które składają się: ciężkość skutków i występowanie w Polsce.
- Zaspokojenie potrzeby zdrowotnej - dostępność w Polsce i skuteczność dostępnych technologii lekowych w tym schorzeniu.
- Siła wnioskowanej interwencji, uwzględniając jej skuteczność i bezpieczeństwo (działania niepożądane) w rozpatrywanym wskazaniu.
- Istotność najważniejszego punktu końcowego.
- Jakość dostępnych dowodów naukowych.

Rada przyznawała wagi poszczególnym kryteriom, w zależności od rodzaju wskazań oraz charakterystyki danych klinicznych.

Wyboru dokonywano spośród technologii przedstawionych w raporcie AOTMiT, które Europejska Agencja Leków zarejestrowała jako leki służące do terapii

chorób nowotworowych lub określonych jako sieroce w okresie od 27 listopada 2020 r. do 26 listopada 2021 r.

Technologie rekomendowane podzielono na 3 kategorie – A (rekomendowane w pierwszej kolejności), A/B (rekomendowane w drugiej kolejności) i B (rekomendowane w trzeciej kolejności). Technologie, które uzyskały najniższą ocenę w opinii Rady uznano za nierekomendowane.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt 4 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 opracowania zbiorczego nr: BP.425.1.2022 „Podsumowanie wyników dla technologii lekowych zakwalifikowanych do oceny w ramach opracowania wykazu technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności”. Data ukończenia: 18 lutego 2022 r.