



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 35/2021 z dnia 22 lutego 2021 roku
w sprawie technologii lekowych ocenianych pod kątem
uwzględnienia na wykazie technologii lekowych o wysokim poziomie
innowacyjności

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

- 1. Ayvakyt (awaprytynib) we wskazaniu: monoterapia w leczeniu dorosłych pacjentów z nieresekcyjnymi albo przerzutowymi nowotworami podścieliskowymi przewodu pokarmowego (ang. gastrointestinal stromal tumour, GIST) z mutacją D842V w genie kodującym receptor alfa płytkopochodnego czynnika wzrostu (ang. platelet-derived growth factor receptor alpha, PDGFRA);*
- 2. Givlaari (giwosyran sodowy) we wskazaniu: ostra porfiria wątrobowa u dorosłych i młodzieży w wieku od 12 lat;*
- 3. Idefirix (imlifidaza) we wskazaniu: leczenie desensytyzacyjne (odczulanie) u wysoko immunizowanych dorosłych biorców przeszczepu nerki;*
- 4. Isturisa (osilodrostat) we wskazaniu: leczenie endogennego zespołu Cushinga u osób dorosłych;*
- 5. Oxlumo (lumazyran sodu) we wskazaniu: leczenie pierwotnej hiperoksalurii typu 1 we wszystkich grupach wiekowych;*
- 6. Piqray (alpelisyb) we wskazaniu: leczenie kobiet po menopauzie oraz mężczyzn z miejscowo zaawansowanym lub rozsiałym rakiem piersi HR-dodatnim, HER2-ujemnym z mutacją PIK3CA;*
- 7. Polivy (polatuzumab wedotyny) we wskazaniu: leczenie dorosłych pacjentów z nawrotowym/ opornym chłoniakiem rozlanym z dużych komórek B, którzy nie kwalifikują się do przeszczepienia krwiotwórczych komórek macierzystych;*
- 8. Pretomanid FGK/Drovprela (pretomanid) we wskazaniu: gruźlica lekooporna (MDR, XDR);*



9. *Reblozyl (luspatercept)* we wskazaniu: niedokrwistość zależna od transfuzji z powodu zespołów mielodysplastycznych;
10. *Rozlytrek (entrectynib)* we wskazaniu: guzy lite z obecnością fuzji genu neurotroficznej receptorowej kinazy tyrozynowej (NTRK, ang. neurotrophic tyrosine receptor kinase);
11. *Zolgensma (onasemnogen abeparwówek)* we wskazaniu: rdzeniowy zanik mięśni (ang. spinal muscular atrophy, SMA) 5q z bialleliczną mutacją genu SMN1 i klinicznym rozpoznaniem SMA typu 1 lub pacjentów z rdzeniowym zanikiem mięśni 5q z bialleliczną mutacją genu SMN1 i z nie więcej niż 3 kopiami genu SMN2.

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

1. *Adakveo (kryzanlizumab)* we wskazaniu: zapobieganie nawracającym przełomom naczyniowo-okluzyjnym (ang. vaso-occlusive crisis, VOC) u pacjentów z niedokrwistością sierpowatokrwinkową w wieku 16 lat i starszych;
2. *Arikayce liposomal (amikacyna)* we wskazaniu: leczenie zakażeń płuc wywołanych przez prątki niegruźlicze *Mycobacterium avium Complex (MAC)* u osób dorosłych z ograniczonymi możliwościami leczenia, u których nie występuje mukowiscydoza;
3. *Blenrep (belantamab mafodotin)* we wskazaniu: szpiczak mnogi u pacjentów po co najmniej czterech liniach leczenia (ICD-10 C90.0);
4. *Calquence (akalabrutynib)* we wskazaniu: nieleczone wcześniej przewlekła białaczka limfocytowa (ang. chronic lymphocytic leukaemia, CLL);
5. *Calquence (akalabrutynib)* we wskazaniu: leczenie dorosłych pacjentów z przewlekłą białaczką limfocytową (ang. chronic lymphocytic leukaemia, CLL), którzy wcześniej otrzymali co najmniej jedną terapię;
6. *Daurismo (glasdegibum)* we wskazaniu: leczenie dorosłych pacjentów z nowo zdiagnozowaną ostrą białaczką szpikową (AML, ang. acute myeloid leukaemia) występującą de novo lub wtórną, których nie można poddać standardowej chemioterapii indukującej;
7. *Hepcludex (bulewirtyd)* we wskazaniu: przewlekłe wirusowe zapalenie wątroby typu D (HDV);
8. *Obiltoxaximab SFL (obiltoxaximab)* we wskazaniu: w skojarzeniu z odpowiednimi lekami przeciwbakteryjnymi we wszystkich grupach

wiekowych w leczeniu węglika wziewnego wywołanego przez bakterię *Bacillus anthracis*;

9. *Obiltoxaximab SFL (obiltoxaximab)* we wskazaniu: we wszystkich grupach wiekowych w ramach profilaktyki poekspozycyjnej węglika wziewnego, kiedy inne metody leczenia są nieodpowiednie lub niedostępne;
10. *Rebloyl (luspatercept)* we wskazaniu: niedokrwistość zależna od transfuzji związana z beta-talasemią;
11. *Sarclisa (izatuksymab)* we wskazaniu: dorośli pacjenci z nawrotowym i opornym na leczenie szpiczakiem mnogim, którzy otrzymali wcześniej co najmniej dwa cykle leczenia, w tym z zastosowaniem lenalidomidu i inhibitora proteasomów, u których nastąpiła progresja choroby po ostatnim leczeniu;

Uzasadnienie

Dokonując wyboru technologii zakwalifikowanych do oceny AOTMiT w ramach opracowania wykazu technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności, w zakresie chorób onkologicznych i chorób rzadkich, Rada Przejrzystości przyjęła następujące kryteria:

1. Istotność schorzenia (lub wskazania szczegółowego), na które składają się ciężkość skutków i występowanie w Polsce;
2. Zaspokojenie potrzeby zdrowotnej dostępność w Polsce i skuteczność technologii leczniczej w tym schorzeniu;
3. Siła wnioskowanej interwencji, uwzględniając jej skuteczności bezpieczeństwo (działania niepożądane) w rozpatrywanym wskazaniu;
4. Istotność najważniejszego punktu końcowego;
5. Dystans innowacyjny - różnica pomiędzy siłą wnioskowanej technologii a aktualnym zaspokojeniem potrzeb zdrowotnych w danym wskazaniu - jako sumaryczny miernik innowacji wynikowej;
6. Jakość dowodów naukowych;
7. Innowacyjność procesowa technologii - czy jej działanie jest innowacyjne biorąc pod uwagę punkt uchwytu i mechanizm działania;
8. Koszty terapii;
9. Koszty efektu zdrowotnego (preferencyjnie LYG);
10. Impakt budżetowy, przy uwzględnieniu wielkości populacji docelowej.

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 1 stycznia do 26 listopada 2020 r. Wyboru dokonano poprzez ocenę poszczególnych kryteriów w skali punktowej dla wszystkich preparatów, a następnie wybór tych, które w opinii członków Rady uzyskały najwyższą ocenę łączną, przy czym w odniesieniu do punktów 1-7 punktacja miała charakter rosnący wraz ze wzrostem istotności poszczególnych chorób i innowacyjności technologii, a w przypadku punktów 8-10 malejący wraz ze wzrostem kosztów terapii.

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 2020 r., poz. 1398), z uwzględnieniem opracowania zbiorczego nr: BP.425.1.2021 „PODSUMOWANIE WYNIKÓW DLA TECHNOLOGII LEKOWYCH ZAKWALIFIKOWANYCH DO OCENY W RAMACH OPRACOWANIA WYKAZU TECHNOLOGII LEKOWYCH O WYSOKIM POZIOMIE INNOWACYJNOŚCI”, data ukończenia 19 lutego 2021 r.