



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 385/2017 z dnia 28 listopada 2017 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Iclusig (ponatynib) we wskazaniu: ostra białaczka limfoblastyczna Ph+

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Iclusig (ponatynib) we wskazaniu: ostra białaczka limfoblastyczna Ph+, dla kandydatów do przeszczepu komórek macierzystych.

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Ostra białaczka limfoblastyczna (ALL) jest śmiertelną chorobą układu limfatycznego. ALL z chromosomem Philadelphia (Ph+) występuje w 30% i wiąże się ze szczególnie złym rokowaniem. Jest ono jeszcze gorsze u chorych z mutacją T315I. Mediana przeżycia w takiej populacji, odpornej na inhibitory kinaz tyrozynowych (TKI), nieleczonej ponitynibem, wynosiła 48.4 miesiące (Nicolini FE, et al. Haematologica 2013).

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Wprowadzenie TKI, spowodowało w ostatnich latach przełom w leczeniu ALL Ph+.

Pacjenci, którzy utracili odpowiedź na stosowanie imatynibu, mogą odpowiedzieć na ponatynib.

Dowody naukowe dotyczące jego skuteczności w tej populacji są jednak słabe. Chorzy ci stanowili podgrupę w badaniu PACE, dla której nie przeprowadzono oddzielnej analizy, w badaniu tym mediana przeżycia wszystkich chorych z CLL leczonych ponatynibem wynosiła 8 miesięcy.

Te dowody naukowe zostały uznane wcześniej przez AOTMiT, przez pozytywną opinię Rady i rekomendację Prezesa w innym wskazaniu, jakim była przewlekła białaczka mieloblastyczna.



Bezpieczeństwo stosowania

Lek ma nieliczne (mniej niż 10%) lecz groźne działania niepożądane - objawowe zakrzepy tętnicze i żyłne i jest przedmiotem szczególnego monitorowania przez EMA (ang. European Medicine Agency).

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Wymaga uwagi fakt, że lek ten jedynie nieco wydłuża życie, lecz jednym z głównych celów leczenia ponatynibem jest wykonanie przeszczepu komórek macierzystych.

Konkurencyjność cenowa

Nie dotyczy z uwagi na brak skutecznego komparatora.

Wpływ na wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorców

Koszty terapii są wprawdzie bardzo wysokie, lecz liczba potencjalnych pacjentów jest dość mała.

Alternatywna technologia medyczna, w rozumieniu ustawy o świadczeniach, oraz jej efektywność kliniczna i bezpieczeństwo stosowania

Ponatynib jest właściwie jedynym lekiem w tym wskazaniu, z innych terapii dopuszczalna jest chemioterapia z użyciem następujących schematów: cyklofosfamid, winkrystyna, doksorubicyna i deksametazon lub fludarabina, cytarabina i mitoksantron.

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 2017 r., poz. 1938), z uwzględnieniem opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, nr OT.422.7.2017 „Iclusig (ponatynib) we wskazaniu ostra białaczka limfoblastyczna Ph+ (ICD-10 C91.0) w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych”. Data ukończenia: 22.11.2017 r.