



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezysie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 306/2018 z dnia 26 listopada 2018 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych,
w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku
Imbruvica (ibrutynib) we wskazaniu: makroglobulinemia
Waldenströma (ICD-10: C88.0)

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Imbruvica (ibrutynib), kapsułki twarde á 140 mg, we wskazaniu: makroglobulinemia Waldenströma (ICD-10: C88.0).

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Makroglobulinemia Waldenströma to chłoniak limfoplazmocytowy zlokalizowany w szpiku występujący rzadko, zazwyczaj u osób powyżej 65 roku życia, charakteryzujący się często powolnym przebiegiem. Mediana wieku w chwili rozpoznania wynosi 64 lata, a mediana czasu przeżycia wynosi od 6,4 do 8 lat.

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Ibrutynib (Imbruvica) - inhibitor kinazy tyrozynowej Brutona stanowił terapię przełomową w leczeniu chłoniaka komórek płaszczka i przewlekłej białaczki limfocytarnej. Jego skuteczność w makroglobulinemii Waldenströma jest znacznie gorzej udokumentowana i opiera się jedynie na wydłużeniu przeżycia bez progresji, przy braku danych o wpływie na, ważną w tej chorobie, obniżoną jakość życia. Dodatkowo, w odniesieniu do dostępnych dowodów klinicznych, wyrażane są wątpliwości co do zasadności doboru komparatorów. Zastosowanie leku w tym wskazaniu zostało zarejestrowane zarówno przez EMA, jak i FDA i jest wymieniane w niektórych wytycznych, nie są jednak dostępne opinie polskich ekspertów na jej temat.

Bezpieczeństwo stosowania

Terapia posiada liczne działania niepożądane jak neutropenia (26%), zapalenie płuc (10%), trombocytopenia (10%) i gorączka neutropeniczna (5%). Odrębnym działaniem niepożądanym jest migotanie przedsionków, stwierdzone u 5-8% chorych.



Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Ocena tej relacji jest niemożliwa do oszacowania, z uwagi na brak „twardych” danych na temat skuteczności leku.

Konkurencyjność cenowa

Koszt 3-miesięcznej terapii ibrutynibem jest, w zależności od przyjętych założeń, w większości przypadków [REDACTED].

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

Koszt 3-miesięcznego leczenia ibrutynibem wyniósłby [REDACTED] (przy założeniu, że pacjent w ciągu 3 miesięcy terapii zużyje 3 opakowania). Natomiast, na podstawie obliczeń Agencji, aby zapewnić pacjentowi całkowite 3-miesięczne leczenie, potrzeba 273 kapsułki lub 4 opakowania leku, których koszty wyniosłyby odpowiednio [REDACTED] lub [REDACTED].

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

Wytyczne wspominają o stosowaniu takiego leczenia jak w szpiczaku w skojarzeniu z rituksymabem, ale brakuje na to dowodów naukowych.

Główne argumenty decyzji

Zgodnie z definicją RDTL kryteria zasadności powinny opierać się na wydłużeniu przeżycia całkowitego lub dowodach na znaczącą poprawę jakości życia. Rejestracja przez EMA jest warunkiem koniecznym, lecz nie wystarczającym dla zasadności RDTL. Terapia nie uzyskała poparcia konsultanta krajowego ani innych krajowych ekspertów.

Rada nie posiada informacji o metodach terapeutycznych zastosowanych u potencjalnych beneficjentów RDTL. Tym samym, nie jest jasne, czy oczekiwanego efektu terapeutycznego nie można uzyskać przy zastosowaniu innych leków.

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 2018 r., poz. 1510, z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych nr: OT.422.44.2018 „Imbruvica (ibrutynib) we wskazaniu: makroglobulinemia Waldenströma (ICD-10: C88.0) w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych”. Data ukończenia: 21 listopada 2018 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Janssen-Cilag International NV, Amgen Europe B.V., Novartis Europharm Limited).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Janssen-Cilag International NV, Amgen Europe B.V., Novartis Europharm Limited 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, 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 2003 r., Nr 153, poz. 1503 z późn. zm.)

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

Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Janssen-Cilag International NV, Amgen Europe B.V., Novartis Europharm Limited