



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 21/2019 z dnia 28 stycznia 2019 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych,
w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych,
leku Mozobil (plerixafor) we wskazaniu: neuroblastoma
(ICD 10: C74.1)

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Mozobil, pleryksafor koncentrat do sporządzenia roztworu do infuzji, fiolka á 24mg/1,2 ml, we wskazaniu: neuroblastoma (ICD-10: C74.1).

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Neuroblastoma (nerwiak zarodkowy współczulny) jest nowotworem złośliwym, rozwijającym się z listewki nerwowej, z której w prawidłowych warunkach powstają nadnercza i zwoje układu współczulnego. Objawia się guzem lub masami guzowatymi wokół rdzenia kręgowego w obrębie jamy brzusznej, klatki piersiowej, szyi lub miednicy - wszędzie tam, gdzie znajdują się embrionalne komórki części współczulnej układu autonomicznego.

Jest jednym z najczęstszych nowotworów wieku dziecięcego (stanowi ok. 5-7% wszystkich nowotworów dziecięcych). Rocznie stwierdza się 6-11 zachorowań na 1 mln dzieci w wieku 0-15 lat, 50% guzów występuje przed 2 r.ż., a 90% przed 5 r.ż. W Polsce rozpoznaje się rocznie około 60-70 nowych zachorowań.

Według opinii polskiego eksperta klinicznego, wnioskowana technologia jest terapią ratująca życie, bowiem dzięki zastosowaniu terapii pleryksaforem możliwe jest przeprowadzenie transplantacji komórek macierzystych, co stwarza szansę na dalsze życie dziecka. Technologia ta umożliwi dłuższą przeżywalność chorych i zdecydowanie poprawia jakość ich życia. Nieleczona lub leczona niewłaściwie neuroblastoma prowadzi do zgonu pacjenta.

Odnaleziono wytyczne kliniczne 4 organizacji (polskich i międzynarodowych), dotyczące postępowania terapeutycznego u pacjentów cierpiących na neuroblastomę. We wszystkich wytycznych, jako jeden z elementów leczenia pacjentów z neuroblastomą z grupy wysokiego ryzyka wymienia się przeszczep macierzystych komórek krwiotwórczych CD34+.



Pleryksafor powoduje zerwanie wiązań natywnego liganda z receptorem chemokinowym CXCR4, co prowadzi do uwolnienia do krwi krążącej komórek CD34+.

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Do analizy dotyczącej pacjentów z neuroblastoma włączono 3 badania retrospektywne: Bitan 2016, Modak 2012, Patel 2015; 1 prospektywne badanie obserwacyjne: Son 2013; 1 badanie - opis serii przypadków: Vettenranta 2011.

W publikacji Bitan 2016 uwzględniono 7 pacjentów, z czego tylko dwóch miało zdiagnozowaną neuroblastomę z przerzutami.

U wszystkich pacjentów, za wyjątkiem jednego, wyizolowano wystarczającą docelową liczbę komórek macierzystych CD34 + już po zastosowaniu jednej dawki pleryksaforu. Metoda izolacji komórek macierzystych przy użyciu G-CSF (czynnika wzrostu kolonii granulocytów) w połączeniu z pleryksaforem jest skuteczna i bezpieczna u dzieci.

Modak 2012. Po zastosowaniu G-CSF w połączeniu z pleryksaforem próby wyizolowania odpowiedniej liczby komórek PBSC zakończyły się powodzeniem u 5/7 (71%) pacjentów. Połączenie pleryksaforu i G-CSF jest bezpieczną i skuteczną opcją wykorzystywaną do mobilizacji autologicznych komórek macierzystych krwi obwodowej u dzieci z NB wysokiego ryzyka, u których zawiodły metody z użyciem konwencjonalnie stosowanych preparatów.

Patel 2015. Pleryksafor w połączeniu z G-CSF jest bezpiecznym i skutecznym preparatem w mobilizacji komórek macierzystych. Jego stosowanie powinno być rozważone już w pierwszej linii izolacji komórek w przypadku pacjentów pediatrycznych, którzy byli intensywnie leczeni i uzyskali częściową lub całkowitą odpowiedź, a u których autologiczny przeszczep stanowi następny etap terapii. Wykorzystując pleryksafor w połączeniu z G-CSF można zmniejszyć ilość nieudanych izolacji komórek macierzystych i zmaksymalizować potencjalny wynik przeżycia.

Son 2013. Pleryksafor w połączeniu z G-CSF może stanowić kolejną opcję skutecznej mobilizacji i pobierania komórek macierzystych u pediatrycznych pacjentów, u których zawiodły inne metody, jednakże nie zawsze kończy się sukcesem. Uzyskane wyniki sugerują, że pleryksafor należy stosować ostrożnie u małych dzieci.

Według ChPL, Pleryksafor w skojarzeniu z G-CSF jest stosowany do zwiększenia mobilizacji macierzystych komórek krwiotwórczych we krwi obwodowej w celu ich pobrania, a następnie autologicznego przeszczepienia pacjentom z chłoniakiem lub szpiczakiem mnogim, u których mobilizacja tych komórek jest niewystarczająca. Wskazania rejestracyjne dla leku Mozobil nie obejmują zatem wskazania wynikającego ze zlecenia MZ, tj. neuroblastoma (ICD-10: C74.1).

Bezpieczeństwo stosowania

Według przedstawionych badań podawanie preparatu pleryksafor nie wiąże się z występowaniem istotnych działań niepożądanych.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Korzyści zdrowotne znacznie przewyższają potencjalne ryzyko stosowania.

Konkurencyjność cenowa

Nie wyznaczono komparatora dla preparatu Mozobil.

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

Wg opinii ekspertów klinicznych populacja docelowa może liczyć rocznie od kilku do 10-15 pacjentów. Zgodnie z tymi założeniami, koszt leczenia pleryksaforem wyniesie (w skali roku): [REDACTED].

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

W celu mobilizacji krwiotwórczych komórek macierzystych wytyczne kliniczne wskazują na możliwość stosowania G-CSF lub G-SCF + CTH. W omawianym wskazaniu są to technologie medyczne obecnie w Polsce stosowane i refundowane. Wytyczne wskazują na możliwość stosowania pleryksaforu po niepowodzeniu terapii refundowanych w Polsce.

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.422.01.2019, „Mozobil (pleryksafor) we wskazaniu: neuroblastoma (ICD-10: C74.1) w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych”. Data ukończenia: 23 stycznia 2019 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców (Genzyme Europe B.V.).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem (Genzyme Europe B.V.) 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 r., 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 2018 r., poz. 419).

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

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: (Genzyme Europe B.V.).