



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 27/2019 z dnia 4 lutego 2019 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Mylotarg (gemtuzumab ozogamycin) we wskazaniu: ostra białaczka promielocytowa (ICD-10: C92.4)

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Mylotarg (gemtuzumab ozogamycin), proszek do sporządzania koncentratu, ampułka à 1 mg/ml, we wskazaniu: ostra białaczka promielocytowa (ICD-10: C92.4).*

*Warunkiem finansowania w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych jest udokumentowany brak skuteczności innych opcji terapeutycznych, w tym chemioterapii opartej na antracyklinach, kwasie all-transretinowym (ATRA) i trójtlenku arsenu (ATO) oraz udokumentowana ekspresja mieloidalnego markera CD33 na komórkach białaczkowych.*

#### **Uzasadnienie**

##### *Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek*

*Ostra białaczka promielocytowa (APL, acute promyelocytic leukemia) jest podtypem ostrej białaczki szpikowej, w której zablokowanie różnicowania linii granulocytarnej nastąpiło w stadium promielocyta. Stanowi ona 5-10% wszystkich ostrych białaczek szpikowych. Cechuje się gwałtownym przebiegiem, ze względu na wysokie ryzyko śmiertelnych powikłań krwotocznych jest uznawana za „stan nagły”, który wymaga pilnej diagnostyki i leczenia. Oporność na leczenie prowadzi do śmierci chorego.*

##### *Skuteczność kliniczna i praktyczna*

*Nie odnaleziono randomizowanych badań klinicznych, dotyczących skuteczności stosowania produktu w omawianym wskazaniu, które jest odmienne niż wskazanie rejestracyjne (ostra białaczka szpikowa z ekspresją antygenu CD-33). Dostępne dane to opisy i serie przypadków. W większości z tych prac gemtuzumab ozogamycyny stosowano w dawce 9 mg/m<sup>2</sup>, jako leczenie samodzielne lub w skojarzeniu z chemioterapią. Doniesienia te sugerują wysoką skuteczność u chorych na APL przy pierwszym nawrocie (u większości leczonych chorych osiągnęto trwałą całkowitą remisję). Doniesienia sugerują też*



możliwość zastosowania gemtuzumabu ozogamycyny jako technologii pomostowej dla allogenicznego przeszczepieniu szpiku.

#### Bezpieczeństwo stosowania

Większość informacji dotyczących bezpieczeństwa stosowania produktu leczniczego Mylotarg pochodzi z badań w grupach chorych, które obejmują wskazania rejestracyjne (ostra białaczka szpikowa). Najczęściej opisywane poważne działania niepożądane to zespół krzepnięcia wewnątrznaczyniowego (DIC, disseminated intravascular coagulation) oraz nudności i wymioty w stopniu 3. Inne działania niepożądane to małopłytkowość, krwotok, zakażenie hepatotoksyczność, zespół rozpadu guza. Zdarzenia niepożądane odnotowywane są u niemal wszystkich chorych, u których stosowane jest leczenie gemtuzumabem.

#### Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Jakkolwiek lek Mylotarg nie jest zarejestrowany do stosowania u pacjentów z ostrą białaczką promielocytową (APL), skąpe dane dotyczące skuteczności i bezpieczeństwa stosowania go w omawianym wskazaniu sugerują, że korzyści zdrowotne przeważają nad ryzykiem jego stosowania.

#### Konkurencyjność cenowa

Nie zidentyfikowano komparatorów dla ocenianego leku. Koszt netto wnioskowanej terapii jest bardzo wysoki: lek dla trzymiesięcznej terapii kosztuje około [REDACTED].

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

Szacowana populacja docelowa jest niewielka liczebnie. Ocenia się, że liczba pacjentów, którzy mogliby skorzystać z wnioskowanej terapii nie przekracza 6 osób rocznie. Koszt terapii dla tych pacjentów rocznie nie powinien istotnie przekroczyć [REDACTED].

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

Zakładając, że lek byłby stosowany zgodnie z definicją ratunkowego dostępu do technologii lekowych, to jest po wyczerpaniu innych opcji terapeutycznych, dostępnych w leczeniu APL, brak jest alternatywnych technologii medycznych, które mogłyby być wykorzystane w takiej sytuacji klinicznej.

#### **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.422.5.2019 „Mylotarg (gentuzumab ozogamycin) we wskazaniu ostrobiałaczka promielocytowa (ICD-10: C92.4)”. Data ukończenia: 30.01.2019 r.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców (Pfizer Europe MA EEIG).

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem (Pfizer Europe MA EEIG) 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:** (Pfizer Europe MA EEIG).