



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

Opinia Rady Przejrzystości  
nr 31/2019 z dnia 11 lutego 2019 roku  
w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych,  
w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych,  
leku Besponsa (inotuzumab ozogamycin) we wskazaniu: ostra  
białaczka limfoblastyczna (ICD10: C91.0)

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Besponsa (inotuzumab ozogamycin), proszek do sporządzania koncentratu roztworu do infuzji, fiolka à 1 mg, we wskazaniu: ostra białaczka limfoblastyczna (ICD10: C91.0), pod warunkiem stosowania u chorych z chorobą nawrotową lub oporną na leczenie, wywodzącą się z komórek prekursorowych limfocytów B, z ekspresją antygenu CD22. Jednocześnie, w przypadku stosowania u pacjentów z nawrotową lub oporną na leczenie ostrą białaczką limfoblastyczną wywodzącą się z komórek prekursorowych limfocytów B z chromosomem Philadelphia (Ph+) powinno wystąpić niepowodzenie leczenia co najmniej jednym inhibitorem kinazy tyrozynowej.*

### Uzasadnienie

#### Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

*Wniosek dotyczy zasadności zastosowania w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Besponsa (inotuzumab ozogamycin) u pacjenta pediatrycznego (wiek – 17 lat), po wznowie szpikowej, u którego brak jest możliwości zastosowania terapii celowanej anty-CD19. Zdaniem eksperta rokowanie u dzieci z ostrą białaczką limfoblastyczną po wznowie szpikowej, u którego brak jest możliwości zastosowania terapii celowanej anty-CD19 jest bardzo poważne: szanse na wyleczenie są rzędu 10-15%.*

#### Skuteczność kliniczna i praktyczna

*Lek Besponsa (inotuzumab ozogamycin) zarejestrowany jest do stosowania w monoterapii w leczeniu dorosłych pacjentów z nawrotową lub oporną na leczenie ostrą białaczką limfoblastyczną (ALL, ang. acute lymphoblastic leukaemia) wywodzącą się z komórek prekursorowych limfocytów B, z ekspresją antygenu CD22. W przypadku dorosłych pacjentów z nawrotową lub oporną na leczenie ALL wywodzącą się z komórek prekursorowych limfocytów B*



z chromosomem Philadelphia (Ph+), warunkiem zastosowania leku Bespona powinno być niepowodzenie wcześniejszego leczenia co najmniej jednym inhibitorem kinazy tyrozynowej (TKI, ang. Tyrosine kinase inhibitor). W tym wskazaniu skuteczność i bezpieczeństwo stosowania leku jest stosunkowo dobrze poznane. Wniosek dotyczy zastosowania leku u pacjenta pediatrycznego (17 lat), to jest poza wskazaniem rejestracyjnym. Odnaleziono jedno wieloośrodkowe, retrospektywne, kohortowe, jednoramienne badanie dotyczące skuteczności praktycznej stosowania inotuzumabu ozogamycyny prowadzone w ramach programu: Bhojwani 2018. Całkowitą odpowiedź na leczenie CR zaobserwowano u 67% chorych z potwierdzoną wznową szpikową. Większość chorych, u których po terapii inotuzumabem ozogamycyny osiągnięto całkowitą remisję przeszło przeszczep komórek krwiotwórczych macierzystych (HSCT).

#### Bezpieczeństwo stosowania

Bezpieczeństwo stosowania leku zostało dość dobrze poznane we wskazaniach rejestracyjnych u dorosłych. Do najczęściej odnotowywanych zdarzeń niepożądanych należy zaliczyć zakażenia i zarażenia pasożytnicze (48% chorych), gorączka neutropeniczna (26%), neutropenia (49%), małopłytkowość (51%), leukopenia (35%), limfopenia (18%), niedokrwistość (36%). Inne działania niepożądane to zaburzenia naczyniowe i zaburzenia żołądkowo-jelitowe. Autorzy badania Bhojwani 2018 dotyczącego populacji pediatrycznej uznali, że stosowanie inotuzumabu ozogamycin jest dobrze tolerowane przez pacjentów.

#### Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Produkt leczniczy Bespona nie posiada rejestracji we wnioskowanym wskazaniu u dzieci i relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania jest trudna do oszacowania. Eksperti krajowi wypowiadają się jednak pozytywnie na temat zasadności stosowania leku, który może stanowić pomost do transplantacji hematopoetycznych komórek macierzystych i do pełnego wyleczenia dziecka.

#### Konkurencyjność cenowa

Produkt leczniczy Bespona (inotuzumab ozogamycin) nie jest aktualnie refundowany w Polsce. Koszt netto wnioskowanej terapii w okresie 3 miesięcy wynosi około ████████ PLN.

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

Przyjmując, że rocznie populacja docelowa mogłaby wynieść 1-9 osób, oszacowano, że roczne wydatki płatnika wynosilyby od około ████████ PLN do około ████████ PLN.

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

*Zdaniem ekspertów i analityków AOTMiT, identyfikacja aktywnego komparatora nie była możliwa. Wobec powyższego jako komparator dla inotuzumabu ozogamycyny można przyjąć leczenie objawowe (BSC).*

**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.422.6.2019 „Besponsa (inotuzumab ozogamycin) we wskazaniu: ostra białaczka limfoblastyczna (ICD-10: C91.0)”. Data ukończenia: 6 lutego 2019 r.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

*Dane zakreślone kolorem czarnym stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców (Pfizer Polska Sp. z o.o).*

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem (Pfizer Polska Sp. z o.o) 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 Polska Sp. z o.o).