



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 60/2019 z dnia 11 marca 2019 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku TRISENOX (arsenic trioxide) we wskazaniu: ostra białaczka promielocytowa (ICD-10: C92.4), w ramach leczenia indukującego remisję u pacjenta z bezwzględny przeciwwskazaniami do stosowania antracyklin

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku TRISENOX (arsenic trioxide) we wskazaniu: ostra białaczka promielocytowa (ICD-10: C92.4), w ramach I linii leczenia indukującego remisję u pacjenta z bezwzględny przeciwwskazaniami do stosowania antracyklin.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Minister Zdrowia zlecił Agencji na zasadzie art. 47f ust. 1 ustawy o świadczeniach, przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych leku Trisenox (trójtlenek arsenu), roztwór, ampułka á 10 mg/10 ml, 10 amp., EAN: 5909990016433 we wskazaniu: ostra białaczka promielocytowa (ICD-10: C92.4), w ramach leczenia indukującego remisję u pacjenta z bezwzględny przeciwwskazaniami do stosowania antracyklin.

Uwagi Rady Przejrzystości

Wskazanie, które podlega ocenie nie zostało zawężone o obligatoryjny warunek posiadania przez chorego translokacji i/lub obecności genu. W zleceniu Ministra Zdrowia nie doprecyzowano też wieku pacjenta. W opinii Rady przyjęto, że przez wzgląd na fakt, iż jest to osoba z nowotworem piersi w wywiadzie, jest to z bardzo dużym prawdopodobieństwem osoba dorosła. Trisenox jest refundowany ze środków publicznych u dzieci i dorosłych we wskazaniu: „ostra białaczka promielocytowa charakteryzująca się translokacją t (15; 17) i (lub) obecnością genu PML/RARalfa (załącznik C.65.B. do Obwieszczenia Ministra Zdrowia). W opinii założono, że oceniany lek będzie stosowany u pacjenta zgodnie z Charakterystyką Produktu Leczniczego (ChPL) (tj. będzie to osoba dorosła



z translokacją i/lub obecnością genu) oraz, że jest to przypadek nowo zdiagnozowanej ostrej białaczki promielocytowej.

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Według Ministra Zdrowia oceniany przez Agencję lek ma być przeznaczony do stosowania w ramach I linii leczenia w terapii skojarzonej z ATRA (kwasem all-trans-retynowym) – pacjentka z powodu wcześniejszego leczenia raka piersi wykorzystwała maksymalną dopuszczalną dawkę antracyklin. Lek Trisenox podlegał wcześniejszej ocenie Agencji (art. 35 ust. 1 ustawy o refundacji) i otrzymał pozytywne stanowisko Rady Przejrzystości i pozytywną rekomendację Prezesa Agencji oraz jest refundowany w II linii leczenia u dorosłych.

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Nie odnaleziono żadnych nowych, poza opisanymi w AWA nr OT.4352.1.2017, badań skuteczności klinicznej odnoszących się do rozpatrywanego problemu decyzyjnego. Należy podkreślić, że ograniczeniem wniosku odnośnie skuteczności i bezpieczeństwa na podstawie badań włączonych do opracowania jest fakt, iż nie jest pewne, czy oceniane wskazanie w pełni odpowiada populacji z badań włączonych do przeglądu, jako, że wskazanie, które podlega ocenie nie zostało zawężone o obligatoryjny warunek posiadania przez chorego translokacji i/lub obecności zmutowanego genu oraz nie jest pewne, czy dotyczy pacjenta z nowo zdiagnozowaną ostrą białaczką promielocytową. Trisenox jest refundowany ze środków publicznych u dzieci w I linii leczenia we wskazaniu: „ostra białaczka promielocytowa (pacjenci poniżej 18 r.ż. z rozpoznaniem ostrej białaczki promielocytowej charakteryzującej się translokacją t (15; 17) i (lub) obecnością genu PML/RARalfa” (załącznik C.65.B. do Obwieszczenia Ministra Zdrowia), zatem na potrzeby opinii Rady uznano, że nie jest to dziecko.

Bezpieczeństwo stosowania

Według ChPL związane z leczeniem działania niepożądane 3. i 4. stopnia wg skali CTC występowały u 37% pacjentów z nawracającą/oporną na leczenie ostrą białaczką promielocytową.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi Europejskiej Agencji ds. Leków uznał, że korzyści płynące ze stosowania produktu Trisenox przewyższają ryzyko i zalecił jego dopuszczenie do stosowania w UE. Początkowo lek Trisenox zarejestrowano w wyjątkowych okolicznościach, gdyż ze względu na to, że choroba występuje rzadko, w chwili rejestracji informacje na temat leku były ograniczone. Wyjątkowe okoliczności wygasły w dniu 10 sierpnia 2010 r.

Konkurencyjność cenowa

Nie istnieje inna technologia do porównania niż najlepsze leczenie wspomagające (BSC).

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

Wskazaną w AWA liczebność populacji ok. 35 osób należy w niniejszym raporcie traktować jako wariant maksymalny (w AWA jako prawdopodobny), jako że rozważany przypadek dotyczy pacjentki, u której wystąpiły przeciwwskazania do stosowania antracyklin. Prognoza rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych wynosi, w zależności od przyjętych założeń od 23,10 mln zł do [REDACTED]

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

Nie odnaleziono żadnych nowych wytycznych polskich, europejskich lub o zasięgu światowym, dotyczących leczenia pacjentów z ostrą białaczką promielocytową, zgodnie z którymi komparatorem dla schematu arsenik + kwas all-trans-retynowy w indukcji remisji jest schemat kwas all-trans-retynowy + antracykliny. Tym samym, przy istnieniu bezwzględnych przeciwwskazań do stosowania antracyklin w ostrej białaczce promielocytowej obecnie nie ma możliwości aktywnego leczenia w fazie indukcji remisji innego niż stosowanie ocenianego schematu.

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.422.17.2019, „Trisenox (trójtlenek arsenu) we wskazaniu: ostra białaczka promielocytowa (ICD-10: C92.4) w ramach leczenia indukującego remisję u pacjenta z bezwzględnymi przeciwwskazaniami do stosowania antracyklin”, data ukończenia: 6 marca 2019 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Teva B.V.).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Teva 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, 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: Teva B.V.