



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 71/2019 z dnia 18 marca 2019 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Darzalex (daratumumab) we wskazaniu: amyloidoza serca, nerek oraz szpiku (ICD-10 C90.2)

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Darzalex (daratumumab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, fiolka à 400 mg/ml we wskazaniu: amyloidoza serca, nerek oraz szpiku (ICD-10 C90.2).

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Pismem z dnia 21.12.2019 r., znak PLD.46434.1031.2019.1.SK (data wpływu do AOTMiT 21.02.2019 r.), Minister Zdrowia zlecił Agencji na zasadzie art. 47 f ust. 1 ustawy o świadczeniach (w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych), przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych leku Darzalex (daratumumab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, fiolka à 400 mg/ml, we wskazaniu amyloidoza serca, nerek oraz szpiku (ICD - 10 C90.2). Lek nie był do chwili obecnej oceniany przez Agencję w tym wskazaniu.

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Amyloidoza to grupa chorób, których wspólną cechą jest pozakomórkowe gromadzenie się w tkankach i narządach nierozpuszczalnych białek o budowie włóknikowej, zwanych amyloidem. Amyloidozy dzieli się na kilka typów w zależności od gromadzonych białek we włóknach amyloidu oraz obrazu klinicznego. Nieleczeni chorzy na amyloidozę AL przeżywają do roku od rozpoznania. Rokowanie pogarsza zajęcie serca. W objętych oceną wniosku wskazano na amyloidozę pierwotną.

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Dowody naukowe mające potwierdzić skuteczność daratumumabu w amyloidozie pierwotnej pochodzą z nielicznych opisów przypadków i analiz retrospektywnych małych grup chorych. Wyniki prac odnoszą się do zastępczych



punktów końcowych. Brak jest danych dotyczących wpływu terapii na śmiertelność.

Bezpieczeństwo stosowania

Najczęściej zgłaszanymi objawami były reakcje związane z infuzją leku. Istnieje teoretyczne ryzyko hemolizy, wymagające monitorowania w trakcie terapii.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Jednoznaczna ocena stosunku korzyści do ryzyka nie jest na obecnym etapie możliwa.

Konkurencyjność cenowa

Koszt 2-tygodniowej terapii jest istotnie wyższy od kosztów leczenia każdym z komparatorów.

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

Brak jest informacji pozwalających w sposób miarodajny oszacować liczbę chorych kwalifikujących się do terapii, a tym samym wielkość wydatków płatnika publicznego.

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

Do alternatywnych technologii medycznych wymienianych w standardach postępowania i ocenianych jako relatywnie bezpieczne, w odniesieniu do swojej skuteczności, należą: lenalidomid, pomalidomid i bendamustyna.

Przy formułowaniu opinii Rady założono, zgodnie z ustawą o świadczeniach opieki zdrowotnej, że zostały już wyczerpane wszystkie możliwe do zastosowania w tym wskazaniu dostępne technologie medyczne finansowane ze środków publicznych - Rada nie dysponuje informacjami w tym zakresie.

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.4221.21.2019, „Darzalex (daratumumab) we wskazaniu amyloidoza serca, nerek oraz szpiku”, data ukończenia: 13.03.2019 r.