



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 134/2019 z dnia 20 maja 2019 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Dacogen (decytabinum) we wskazaniu: zespół mielodysplastyczny RAEB-2 w okresie transformacji do ostrej białaczki szpikowej (ICD-10: D46.9/ C92.0)

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Dacogen (decytabinum), proszek do sporządzania roztworu do infuzji, fiołka á 50 mg, we wskazaniu: zespół mielodysplastyczny RAEB-2 w okresie transformacji do ostrej białaczki szpikowej (ICD-10: D46.9/ C92.0), wyłącznie u pacjentów w wieku podeszłym, którzy nie kwalifikują się do intensywnej chemioterapii indukującej remisję oraz allogenicznego przeszczepienia krwiotwórczych komórek macierzystych, a wcześniej leczonych azacytydyną.

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Zespół mielodysplastyczny (MDS) RAEB-2 stanowi 15-18% wszystkich zespołów z zapadalnością ok. 0,6 na 100 tysięcy osób w Polsce, a u osób powyżej 70 roku życia ta zapadalność wynosi 5-10/100 tysięcy. Podtyp RAEB-2 obejmuje przypadki, w których dochodzi do transformacji do ostrej białaczki szpikowej (RAEB-T/MDS-EB-T, niedokrwistość oporna na leczenie z nadmiarem blastów w fazie transformacji, ang. refractory anemia with excess of blasts in transforming) stanowiące ok. 30% wszystkich chorych z tym rozpoznaniem RAEB-2. RAEB-T cechuje się złym rokowaniem z medianą przeżycia poniżej 12 miesięcy od rozpoznania.

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Decytabina, analog cytydyny jest lekiem hipometylującym DNA, który jest stosowany w ostrej białaczce szpikowej. U pacjentów z RAEB-T w wieku podeszłym, którzy nie kwalifikują się do intensywnej chemioterapii indukującej remisję oraz allogenicznego przeszczepienia komórek macierzystych, a wcześniej leczeni azacytydyną (inny lek hipometylujący DNA), będących w okresie progresji choroby, decytabina jest rekomendowana w aktualnych zaleceniach towarzyszących



naukowych. Analizy porównujące skuteczność decytabiny z niestosowaniem aktywnego leczenia a jedynie najlepszego leczenia wspomagającego oparto na dwóch badaniach z randomizacją metodą próby otwartej, dla których opublikowano wyniki w podgrupach chorych z podtypem RAEB-T (Kantarjian 2006, EORTC/GMDSSG 06011). Wykazano, że decytabina zmniejsza o 52% ryzyko zgonu z dowolnej przyczyny u chorych w wieku 60-74 lata. Decytabina okazała się skuteczniejsza od komparatora u chorych z RAEB-T i białaczką szpikową w odniesieniu do przeżycia bez progresji, nawrotu po osiągnięciu odpowiedzi całkowitej/częściowej lub zgonu, a w podgrupie RAEB-T obserwowano o 51% mniejsze ryzyko transformacji do ostrej białaczki szpikowej w grupie stosującej decytabinę.

Opinie publikowane przez ekspertów wskazują, że stosowanie decytabiny po niepowodzeniu terapii azacytydyną można rozważyć, jeśli nie ma możliwości włączenia pacjenta do badania klinicznego.

Bezpieczeństwo stosowania

Stosowanie decytabiny w badaniach nad MDS, podobnie jak innych leków o podobnym mechanizmie działania, wiązało się ze zwiększonym ryzykiem neutropenii 3 i 4. stopnia i trombocytopenii oraz zakażeń, w tym zapalenia płuc, zakażeń układu moczowego, itp., a mielosupresja jest najczęstszą przyczyną przerwania leczenia lub redukcji dawki.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Pacjenci z RAEB-T w podeszłym wieku z licznymi chorobami mogą odnieść korzyść z stosowania decytabiny. Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania leku Dacogen w terapii ostrej białaczki szpikowej została pozytywnie oceniona przez EMA.

Konkurencyjność cenowa

Jako komparator dla ocenianej interwencji wybrano brak aktywnego leczenia przy równoczesnym stosowaniu najlepszego leczenia wspomagającego (BSC). Wpływ na wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorców

Koszt podania 3 cykli decytabiny we wlewach dożylnych dla płatnika wynosi wg aktualnych cen ██████████ zł. Liczba pacjentów o podobnej charakterystyce klinicznej, u których można będzie rozważyć taką terapię w oparciu o obecne wskazania trudna jest do oszacowania, ale najpewniej nie przekroczy 10 w ciągu roku.

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

Obecnie u pacjentów z RAEB-T w fazie progresji choroby, którzy będąc w wieku nie kwalifikują się do intensywnej chemioterapii indukującej remisję oraz allogenicznego przeszczepienia komórek macierzystych a wcześniej leczeni

azacytydyną nie ma dostępnej alternatywnej technologii medycznej o podobnej lub większej skuteczności.

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.422.35.2019 „Dacogen (decytabinum) we wskazaniu: zespół mielodysplastyczny RAEB-2 w okresie transformacji do ostrej białaczki szpikowej (ICD-10: D46.9/C92.0)”. Data ukończenia: 16 maj 2019 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Janssen-Cilag International NV).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Janssen-Cilag International NV 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 2018 r., poz. 1330 z późn. zm.) w zw. z art. 11 ust. 2 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2018 r., poz. 419 z późn. zm.).

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

Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Janssen-Cilag International NV