



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 198/2019 z dnia 1 lipca 2019 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Mozobil (pleryksafor) we wskazaniu: retinoblastoma (ICD-10: C69.2)

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Mozobil, pleryksafor koncentrat do sporządzenia roztworu do infuzji, fiolka á 24mg/1,2 ml, we wskazaniu: retinoblastoma (ICD-10: C69.2).

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Siatkówczak to nowotwór oczu u małych dzieci. W Polsce będzie korzystał z pleryksaforu zaledwie kilku pacjentów rocznie. Nowoczesne metody jego leczenia są wysoce skuteczne - w krajach rozwiniętych przeżywa z zachowaną gałką oczną około 98% leczonych dzieci. W przypadkach rozsialego nowotworu stosuje się chemioterapię i transplantację komórek macierzystych.

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Pleryksafor, w skojarzeniu z czynnikiem wzrostowym granulocytów (G-CSF), jest stosowany do zwiększenia mobilizacji macierzystych komórek krwiotwórczych we krwi obwodowej, w celu ich pobrania, a następnie autologicznego przeszczepienia pacjentom m.in. z retinoblastoma. Lek stosuje się u osób, u których niewystarczająca jest mobilizacja komórek macierzystych pod wpływem G-CSF.

Skuteczność leku wykazano w jednym abstrakcie konferencyjnym (Choi 2017) oraz opublikowanych opisach przypadków: Choi 2015 (1 przypadek nawrotowego retinoblastoma) i Vettenrant 2011 (4 przypadki, w tym jeden z retinoblastoma). W abstrakcie opisano skuteczność leku u 21 pacjentów, ale dziwi brak opublikowania pracy do końca czerwca 2019. Vettenrant wykazał dobrą tolerancję leku u 4 leczonych pacjentów, w tym u jednego z retinoblastoma.

Trzej eksperci uważają, że użycie Mozobilu w celu zwiększenia mobilizacji komórek macierzystych przed autologicznym przeszczepieniem jest zasadne. Jeden z nich uważa, że liczba dzieci z retinoblastoma w Polsce, u których



lek ten może być stosowany przed autologicznym przeszczepem komórek, jest znikoma (1-3 rocznie), a tym samym wydatkowanie pieniędzy ze środków publicznych stosunkowo niewielkie. Inny ekspert uważa, że leczenie tym preparatem dotyczy wąskiej grupy pacjentów z siatkówczakiem, u których stwierdza się rozsiew pozagałkowy (...). Lek Mozobil będzie miał zastosowanie dla bardzo wąskiego grona maksymalnie kilku pacjentów w ciągu roku leczonych z powodu siatkówczaka.

Bezpieczeństwo stosowania

Podczas mobilizacji komórek krwiotwórczych pleryksafor może powodować także mobilizację komórek nowotworowych do krwi. Lek jest pod tym względem mało przebadany. Po wstrzyknięciach s.c. mogą wystąpić reakcje wazowagalne, niedociśnienie ortostatyczne i omdlenia oraz reakcje nadwrażliwości.

W badaniu Vettenranta 2011 nie stwierdzono żadnych zauważalnych działań niepożądanych podczas dość skutecznego stosowania pleryksaforu u 4 pacjentów, w tym u jednego z retinoblastoma.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

U pacjentów ze zbyt małą mobilizacją komórek CD 34+ pod wpływem samego G-CSF, dołączenie pleryksaforu wydaje się być uzasadnione.

Konkurencyjność cenowa

Brak jest innych preparatów mogących zwiększać mobilizację komórek macierzystych układu krwiotwórczego w przypadku zbyt małej ich liczby we krwi obwodowej po stymulacji G-CSF.

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

Ze względu na zastosowanie leku u zaledwie kilku (1-3 wg jednego z ekspertów) pacjentów rocznie, wydatki nie będą duże.

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

U pacjentów ze zbyt małą mobilizacją komórek CD 34+ pod wpływem samego G-CSF nie ma dostępnej innej metody ich zwiększenia.

.....
Przewodniczący Rady Przejrzystości

Prof. Rafał Niżankowski

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.422.44.2019, „Mozobil (pleryksafor) we wskazaniu: retinoblastoma (ICD10: C69.2) w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych”. Data ukończenia: 26 czerwca 2019 r.