



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 217/2019 z dnia 22 lipca 2019 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Mozobil (pleryksafor) we wskazaniu: guz Wilmsa (ICD-10: C64)

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Mozobil (pleryksafor), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, fiolka á 24 mg/1,2 ml, we wskazaniu: guz Wilmsa (ICD-10: C64).*

#### Uzasadnienie

##### Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

*Następstwem ocenianego stanu klinicznego, według ekspertów klinicznych, jest przedwczesny zgon, niezdolność do samodzielnej egzystencji, niezdolność do pracy, przewlekłe cierpienie lub przewlekła choroba oraz obniżenie jakości życia.*

*Zastosowanie ocenianych technologii lekowych, według ekspertów, jest ratujące życie i prowadzące do poprawy stanu zdrowia. Wskazano również, że jest to technologia ratująca życie i prowadząca do pełnego wyzdrowienia, zapobiegająca przedwczesnemu zgonowi oraz poprawiająca jakość życia bez istotnego wpływu na jego długość.*

##### Skuteczność kliniczna i praktyczna

*Dzieci kwalifikowane do procedury separacji komórek macierzystych wcześniej były ciężko przeleczone kilkoma liniami chemioterapii i radioterapii. W związku z tym, często nie udaje się wystymulować i zebrać odpowiedniej liczby komórek progenitorowych CD34+ (co najmniej  $3 \times 10^6$ /kg masy ciała pacjenta). Pomocne może być w tych przypadkach zastosowanie pleryksaforu, który ułatwia wyrzut tych komórek do krwi obwodowej. Wg wytycznych EBMT opartych o szereg badań, w przypadku niedostatecznej mobilizacji komórek progenitorowych, zastosowanie pleryksaforu daje szanse na pozyskanie preparatu aferezy wystarczającego do przeprowadzenia bezpiecznej transplantacji. Ze względu na rzadkie wskazanie do zastosowania pleryksaforu u dzieci z guzem Wilmsa opornym na dotychczasową terapię, zakwalifikowanych do przeszczepienia autologicznych komórek krwiotwórczych i dodatkowo niepoddających się*



mobilizacji i separacji komórek krwiotwórczych, nie ma oddzielnych danych dla tej grupy pacjentów. Istnieją zalecenia ogólne dla pacjentów z guzami litymi, po chemioterapii, przed przeszczepieniem autologicznych komórek krwiotwórczych.

#### Bezpieczeństwo stosowania

Według Charakterystyki Produktu Leczniczego (ChPL) do bardzo częstych ( $\geq 1/10$ ) działań niepożądanych pleryksaforu (działania niepożądane, które występowały w dwóch badaniach III fazy u pacjentów z chłoniakiem nieziarnicznym (AMD3100-3101) i szpiczakiem mnogim (AMD3100-3102); łącznie 301 pacjentów w grupie otrzymującej pleryksafor i G-CSF, a 292 pacjentów było w grupie otrzymującej placebo i G-CSF) należą: biegunka, nudności oraz reakcje w miejscu wstrzyknięcia.

#### Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Eksperti kliniczni ankietowani przez Agencję uznali, że relacja korzyści do ryzyka ocenianej terapii jest wysoce korzystna i wskazali na bezpieczeństwo leku, a także na szansę prowadzenia dalszej skutecznej terapii.

Europejska Agencja ds. Leków wskazała, że stosunek ryzyka do korzyści zastosowania pleryksaforu w skojarzeniu z G-CSF w celu zwiększenia mobilizacji komórek macierzystych, a następnie ich pobrania i wykonania przeszczepu HSCT u pacjentów z chłoniakiem lub szpiczakiem mnogim, u których wzrost komórek macierzystych jest obniżony, jest korzystny i w związku z tym zaleca się przyznanie pozwolenia na dopuszczenie do obrotu niniejszego produktu leczniczego.

#### Konkurencyjność cenowa

W ocenianym wskazaniu w trybie RDTL założono, że wyczerpano inne możliwości terapii i brak jest aktywnej technologii alternatywnej, w związku z czym odstąpiono od szacowania dla niej kosztów.

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

Liczebność populacji docelowej oszacowano na podstawie opinii ekspertów klinicznych, ankietowanych przez Agencję. Na podstawie odpowiedzi ekspertów przyjęto, że rocznie liczba pacjentów wyniesie od 7 do 10 pacjentów. Wpływ na sumaryczne wydatki podmiotu zobowiązanego będzie zatem stosunkowo mały.

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

Zarówno z opinii ekspertów ankietowanych przez Agencję, jak i wytycznych klinicznych (europejskie z 2012 r. oraz amerykańskie z 2019 r.) wynika, że pleryksafor powinien być stosowany u pacjentów, u których namnażanie

*komórek macierzystych przy pomocy G-CSF było niewystarczające. Ponadto, według ChPL Mozobil podaje się po 4-dniowym leczeniu wprowadzającym G-CSF.*

*Chemioterapia jest w Polsce technologią refundowaną. W ramach chemioterapii (wg. obwieszczenia MZ z dnia 27.06.2019 r.) w Polsce we wskazaniu C64 (nowotwór złośliwy nerki z wyjątkiem miedniczki nerkowej) refundowane są: karboplatyna, cysplatyna, cyklofosfamid, dakarbazyna, dokсорubicyna, etopozyd, gemcytabina, ifosfamid, tiotepa, topotekan, winkrystyna, winorelbina, temozolomid (nie wszystkie substancje mogą być zastosowane u dzieci).*

*Biorąc pod uwagę powyższe informacje, uznano, że dla ocenianej technologii lekowej w Polsce nie ma technologii alternatywnej.*

#### **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.422.51.2019 „Mozobil (pleryksafor) we wskazaniu: guz Wilmsa (ICD-10: C64) w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych”. Data ukończenia: 17 lipca 2019 r.