



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

**Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 110/2019 z dnia 9 grudnia 2019 roku  
w sprawie oceny leku Rydapt (midostauryna) w ramach programu  
lekowego „Midostauryna w leczeniu agresywnej mastocytozy  
układowej, mastocytozy układowej z współistniejącym nowotworem  
układu krwiotwórczego oraz białaczki mastocytarnej  
(ICD-10: C96.2, C94.3, D47.9)”**

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktów leczniczych:*

- *Rydapt (midostauryna), kapsułki miękkie 25 mg, 112 kaps., kod EAN: 5909991341527,*
- *Rydapt (midostauryna), kapsułki miękkie 25 mg, 56 kaps., kod EAN: 5909991353995,*

*w ramach programu lekowego „Midostauryna w leczeniu agresywnej mastocytozy układowej, mastocytozy układowej z współistniejącym nowotworem układu krwiotwórczego oraz białaczki mastocytarnej (ICD-10: C96.2, C94.3, D47.9)”, w ramach nowej grupy limitowej i wydawanie ich bezpłatnie, pod warunkiem wprowadzenia [redacted] instrumentu dzielenia ryzyka w oparciu o efekt terapii.*

*Rada nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego.*

### **Uzasadnienie**

#### *Problem decyzyjny*

*Produkt Rydapt był dwukrotnie oceniany w Agencji w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, we wskazaniach: agresywna mastocytoza z obecnością mutacji cKIT D816V (zarówno opinia Rady Przejrzystości, jak i Prezesa Agencji były pozytywne) [ORP 264/2018, OPA 42/2018] oraz w ostrej białaczce mieloblastycznej NPM1, FLT3 (zarówno opinia Rady Przejrzystości, jak i Prezesa Agencji były pozytywne) [ORP 9/2018, OPA 1/2018]. Następnie jednak, w stanowisku nr 23/2019 z dnia 01.04.2019 Rada uznała za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego: Rydapt (midostaurin), w ramach programu lekowego „Midostauryna w leczeniu ostrej białaczki szpikowej (ICD-10 C92.0)”. W uzasadnieniu stanowiska wskazano m.in. na wątpliwości dotyczące skuteczności terapii, brak zaleceń ocenianej*



terapii w wytycznych klinicznych, przyjęte założenia do modelowania kosztów efektywności klinicznej oraz wysokie koszty uzyskania efektu zdrowotnego. Stanowiska tego nie podzielił Prezes Agencji wydając rekomendację pozytywną (nr 21/2019 z dnia 05.04.2019 r.).

Zgodnie z Charakterystyką Produktu Leczniczego Rydapt jest wskazany: w skojarzeniu ze standardową chemioterapią indukcyjną daunarubicyną i cytarabiną oraz konsolidacyjną dużymi dawkami cytarabiny, oraz u pacjentów z całkowitą odpowiedzią, a następnie jako monoterapia podtrzymująca u dorosłych pacjentów z noworozpoznaną ostrą białaczką szpikową (ang. acute myeloid leukaemia - AML) z mutacją genu FLT3, a także - w monoterapii w leczeniu dorosłych pacjentów z agresywną mastocytozą układową (ASM), mastocytozą układową z nowotworem układu krwiotwórczego (SM-AHN) lub białaczką mastocytarną (MCL).

#### Dowody naukowe

Ograniczone dowody naukowe, pochodzące przede wszystkim z jednoramiennych prób klinicznych oraz badań rzeczywistej praktyki klinicznej nie dostarczają dowodów naukowych umożliwiających dokonanie porównania skuteczności midostauryny z technologiami opcjonalnymi. Brak jest badań z najwyższego poziomu wiarygodności, które pozwoliłyby na określenie rzeczywistego wpływu leku na oceniane punkty końcowe, w tym na śmiertelność całkowitą.

Należy jednak zauważyć, że wnioskowane wskazania należą do rzadkich i w związku z tym przeprowadzenie badania RCT jest istotnie utrudnione.

#### Problem ekonomiczny

Wyniki analiz farmakoekonomicznych wskazują na [redacted] leku, przy [redacted] wskaźniku ICUR, także [redacted]. Jej stosowanie związane byłoby z [redacted]. Rekomendacje refundacyjne są w przeważającej części negatywne lub, rzadziej, warunkowo pozytywne.

[redacted]. Duża niepewność dotycząca efektów klinicznych stosowania leku obniża wiarygodność analiz.

#### Główne argumenty decyzji

Wnioskowane wskazania należą do rzadkich i zebranie właściwych dowodów naukowych jest utrudnione. Wprowadzenie [redacted] instrumentu dzielenia ryzyka, w postaci płacenia wyłącznie za pozytywny efekt terapii (w odniesieniu do median przeżycia/przeżycia bez progresji w poszczególnych podgrupach chorych), pozwoliłoby ograniczyć niepewność związaną ze słabością dowodów naukowych i [redacted] wprowadzenia nowej technologii.

**Tryb wydania stanowiska**

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 784 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr: OT.4331.55.2019 „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu leku Rydapt (midostauryna) w ramach programu lekowego: »Midostauryna w leczeniu agresywnej mastocytozy układowej, mastocytozy układowej z współistniejącym nowotworem układu krwiotwórczego oraz białaczki mastocytarnej (ICD-10: C96.2, C94.3, D47.9)«”. Data ukończenia: 29 listopada 2019 r.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

*Dane zakreślone kolorem żółtym stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy Novartis Poland Sp. z o. o.*

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem Novartis Poland Sp. z o. o. 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 r., 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 2018 r., poz. 419).

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

**Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności:** Novartis Poland Sp. z o. o.