



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Stanowisko Rady Przejrzystości

Nr 14/2020 z dnia 10 lutego 2020 roku

w sprawie oceny leku Blincyto (blinatumomabum) w ramach programu lekowego „ Leczenie blinatumomabem dorosłych chorych na ostrą białaczkę limfoblastyczną z minimalną chorobą resztkową”

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Blincyto (blinatumomabum), proszek do sporządzania koncentratu roztworu do infuzji, 38,5 mcg, 1, fiol. proszku + 1 fiol. roztworu stabilizującego 10 ml, kod EAN: 05909991256371, w ramach programu lekowego „Leczenie blinatumomabem dorosłych chorych na ostrą białaczkę limfoblastyczną z minimalną chorobą resztkową”, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie.*

*Rada Przejrzystości nie akceptuje proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka, który powinien zostać pogłębiony.*

*Rada nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego.*

#### **Uzasadnienie**

##### Problem decyzyjny

*Minister Zdrowia zlecił przygotowanie analizy weryfikacyjnej AOTMiT, stanowiska Rady Przejrzystości oraz rekomendacji Prezesa AOTMiT na zasadzie art. 35 ust. 1 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2016 r. poz. 784, z późn. zm.) w przedmiocie objęcia refundacją produktu leczniczego:*

*- Blincyto (blinatumomabum), proszek do sporządzania koncentratu roztworu do infuzji, 38,5 mcg, 1, fiol. proszku + 1 fiol. roztworu stabilizującego 10 ml, kod EAN: 05909991256371 w ramach programu lekowego „Leczenie blinatumomabem dorosłych chorych na ostrą białaczkę limfoblastyczną z minimalną chorobą resztkową”.*

*Rada Przejrzystości dokonała wcześniej oceny Blincyto we wskazaniu podobnym do ocenianego w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych i uznała za zasadne jego finansowanie.*



### Dowody naukowe

Bezpieczeństwo i skuteczność stosowania blinatumomabu w omawianym wskazaniu oceniono w prospektywnym badaniu klinicznym II fazy bez grupy kontrolnej BLAST (Goekbuget 2018). Do badania kwalifikowano dorosłych pacjentów z ostrą białaczką limfoblastyczną z komórek prekursorowych limfocytów B, w pierwszej lub kolejnej remisji choroby ze stwierdzoną minimalną chorobą resztkową większą lub równą 0,1%. Jako komparator dla ocenianej technologii wnioskodawca przyjął opiekę standardową odnosząc się do wyników nieinterwencyjnego badania Study 148 (Goekbuget 2019). W celu porównania blinatumomabu z wybranym komparatorem [REDACTED]. Oszacowana w badaniu BLAST mediana całkowitego przeżycia w populacji leczonej blinatumomabem wyniosła 36,5 miesiąca. Mediana przeżycia całkowitego dla opieki standardowej wyniosła, dla porównania, 32,5 miesiąca. Mediana przeżycia wolnego od wznowy choroby wyniosła 18,9 vs. 12,4 miesiąca odpowiednio dla binatumomabu i opieki standardowej. Rada zwraca uwagę na to, że istotnym ograniczeniem dla wiarygodnego oszacowania skuteczności stosowania omawianego leku jest [REDACTED] oraz krótki okres obserwacji chorych w badaniu BLAST.

Najczęstszymi zdarzeniami niepożądanymi, jakie wystąpiły u osób przyjmujących blinatumomab były: gorączka (88,8%), ból głowy (37,9%), drgawki (30,2%), dreszcze (25,9%), zmęczenie (24,1%), nudności (23,3%), wymioty (22,4%), biegunka (19,8%), hipokalemia (15,5%), neutropenia (15,5%), bezsenność (14,7%), afazja (12,9%), ból stawów (12,9%), kaszel (12,9%), obniżenie ciśnienia krwi (12,1%) oraz zaparcia (11,2%). Łącznie u 33% i 27% chorych odnotowano wystąpienie jakiegokolwiek zdarzenia niepożądanego występującego w 3. lub 4. stopniu nasilenia.

### Problem ekonomiczny

Przedstawiona przez wnioskodawcę analiza ekonomiczna wykazała, że stosowanie terapii lekiem Blincyto w porównaniu do standardowej opieki wiąże się z uzyskaniem [REDACTED]. Uwzględniając zaproponowany instrument dzielenia ryzyka współczynnik ICUR, z perspektywy NFZ oszacowano na [REDACTED] PLN/QALY. Ze względu na niepewność danych klinicznych ([REDACTED]) oraz niedojrzałe wyniki [REDACTED] oszacowania te są obarczone o dużą niepewnością. Stanowi to istotną przesłankę dla wnioskowania przez Radę pogłębienia instrumentu dzielenia ryzyka.

Roczna liczebność populacji dorosłych osób z BCP-ALL bez chromosomu Philadelphia i z ekspresją antygenu CD19 w pierwszej lub drugiej całkowitej remisji ze stwierdzoną MRD  $\geq 0,1\%$  została oszacowana na [REDACTED]. Tym samym,

wprowadzenie refundacji produktu leczniczego Blincyto w ramach programu lekowego spowoduje [REDAKTOWANE] (Narodowy Fundusz Zdrowia) [REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE] w I roku refundacji [REDAKTOWANE] w II roku refundacji. Zdaniem Rady wpływ proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka na prognozowany wzrost wydatków płatnika publicznego jest niewystarczający.

#### Główne argumenty decyzji

Analiza [REDAKTOWANE], w której porównano skuteczność stosowania blinatumomabu z leczeniem standardowym, sugeruje zysk w zakresie przeżyć całkowitych i przeżycia wolnego od wznowy choroby w populacji dorosłych pacjentów z ostrą białaczką limfoblastyczną z komórek prekursorowych limfocytów B, w pierwszej lub kolejnej remisji choroby ze stwierdzoną minimalną chorobą resztkową większą lub równą 0,1%. Jednocześnie, dane te obarczone są dużą niepewnością, gdyż skuteczność stosowania ocenianego leku [REDAKTOWANE] [REDAKTOWANE] a wyniki badania BLAST są niedojrzałe. Stanowi to przesłankę dla wnioskowania przez Radę pogłębienia instrumentu dzielenia ryzyka, zwłaszcza że wpływ proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka [REDAKTOWANE] [REDAKTOWANE] jest stosunkowo niewielki. Rada dostrzega jednocześnie, że zastosowanie blinatumomabu wiąże się z wydłużeniem przeżycia wolnego od wznowy choroby oraz ze wzrostem częstości wykonywanych allo-HSCT, a co za tym idzie, ze zmniejszeniem ryzyka nawrotów choroby i kosztów leczenia tych nawrotów

#### **Tryb wydania stanowiska**

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 784 z późn. zm.), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 1373 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OT.4331.62.2019 „Wniosek o objęcie refundacją leku Blincyto (blinatumomab) w ramach programu lekowego: «Leczenie blinatumomabem dorosłych chorych na ostrą białaczkę limfoblastyczną z minimalną chorobą resztkową»”. Data ukończenia: 31 stycznia 2020 r.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Amgen Sp. z o.o.).

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem (Amgen 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:** (Amgen Sp. z o.o.).