



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

**Opinia Rady Przejrzystości  
nr 19/2020 z dnia 20 stycznia 2020 roku  
w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych,  
w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych,  
leku Imbruvica (ibrutinib) we wskazaniu: przewlekła białaczka  
limfocytowa z obecnością mutacji TP53 (ICD-10 C91.1)  
z transformacją typu Richtera**

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Imbruvica (ibrutinib), kapsułki twarde a 140 mg, we wskazaniu: przewlekła białaczka limfocytowa z obecnością mutacji TP53 (ICD-10 C91.1) z transformacją typu Richtera.*

### **Uzasadnienie**

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

*Transformacja Richtera może wystąpić u 2 - 3% chorych z przewlekłą białaczką limfocytową. Chłoniaki powstałe w wyniku transformacji charakteryzują się bardziej agresywnym przebiegiem niż postacie de novo i opornością na chemioterapię. Rokowanie jest złe z medianą czasu przeżycia około 8 miesięcy.*

#### *Skuteczność kliniczna i praktyczna*

*Wskazanie, którego dotyczy wniosek nie zawiera się we wskazaniu rejestracyjnym produktu leczniczego Imbruvica. Niskiej jakości dowody naukowe w postaci pojedynczych analiz retrospektywnych i opisów przypadków wskazują na możliwość uzyskania całkowitej lub częściowej odpowiedzi na leczenie u części chorych z transformacją Richtera.*

#### *Bezpieczeństwo stosowania*

*Najczęściej występującymi działaniami niepożądanymi ( $\geq 20\%$ ) związanymi ze stosowaniem leku są: biegunka, wysypka, powikłania krwotoczne, neutropenia, bóle mięśniowo - szkieletowe, nudności i trombocytopenia. Najczęstszymi działaniami niepożądanymi stopnia 3./4. są: neutropenia, zapalenie płuc i trombocytopenia.*

#### *Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania*



Ponieważ wskazanie, którego dotyczy wniosek nie zawiera się we wskazaniu rejestracyjnym produktu leczniczego Imbruvica i EMA nie przeprowadziła oceny relacji korzyści do ryzyka.

#### Konkurencyjność cenowa

Koszt 3-miesięcznej terapii Imbruvica jest wysoki.

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

Brak oszacowania wielkości populacji docelowej nie pozwala na określenie wpływu na wydatki płatnika publicznego, za wyjątkiem wspomnianych wyżej jednostkowych kosztów terapii.

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

Alternatywnymi technologiami medycznymi wskazywanymi przez wytyczne mogą być immunochemioterapia R-CHOP, która była już stosowana oraz allogeniczny przeszczep krwiotwórczych komórek macierzystych. Rada nie posiada wyczerpujących informacji na temat zarówno stanu klinicznego chorego jak i jego leczenia, jednak zakłada, że wszystkie możliwe do zastosowania w danym wskazaniu dostępne technologie medyczne finansowane ze środków publicznych zostały wyczerpane.

#### **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 2019 r., poz. 1373 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, nr OT.422.2.2020, „Imbruvica (ibrutinib) we wskazaniu Przewlekła białaczka limfocytowa z obecnością mutacji TP53 (ICD-10: C91.1) z transformacją typu Richtera”, data ukończenia: 16 stycznia 2020 r.