



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 92/2020 z dnia 27 kwietnia 2020 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Venclyxto (wenetoklaks) we wskazaniu: chłoniak limfoblastyczny T-komórkowy (ICD-10: C83.5)

Rada Przejrzystości uważa za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Venclyxto (wenetoklaks), tabletki powlekane, we wskazaniu: chłoniak limfoblastyczny T-komórkowy (ICD-10: C83.5).

Rada Przejrzystości sugeruje, aby chłoniak limfoblastyczny T-komórkowy traktować analogicznie do ostrej białaczki limfoblastycznej T-komórkowej i włączyć pacjentów z tym rozpoznaniem do istniejących programów lekowych.

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Ekspert kliniczny wskazał, że skutkami następstw ocenianego wskazania są: przedwczesny zgon, niezdolność do samodzielnej egzystencji oraz niezdolność do pracy. W uzasadnieniu wskazał, że nieopanowana choroba prowadzi w krótkim czasie do śmierci.

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Wszystkie odnalezione badania dotyczą ostrej białaczki limfoblastycznej z komórek T. Podkreślić należy, że stanowisko przedstawione w wytycznych PTOK 2013, dotyczące konieczności traktowania LBL i ALL jako tej samej jednostki chorobowej, pokrywa się z wytycznymi międzynarodowymi i opinią ankietowanego przez Agencję eksperta klinicznego, który zaznacza, że: „T-LBL jest jednostką chorobową bardzo podobną do T-ALL (ostra białaczka limfoblastyczna z komórek T), zatem powinna być kodowana jako C91.0, a nie C83.5 w klasyfikacji ICD-10”.

Nieliczne dowody skuteczności wenetoklaksu w leczeniu ostrej białaczki limfoblastycznej z komórek T, pochodzą z 1 publikacji opisującej serie przypadków oraz 6 publikacji opisujących pojedyncze przypadki.



Bezpieczeństwo stosowania

Nie odnotowano żadnej śmierci w 30 dni po rozpoczęciu terapii zawierającej wenetoklaks, a wszystkie ze zgonów ogółem związane były z progresją choroby. Podczas okresu zwiększania dawki wenetoklaksu do dawki docelowej nie odnotowano żadnego istotnego klinicznie zespołu rozpadu guza. Głównym zdarzeniem niepożądanym obserwowanym podczas leczenia były przedłużające się cytopenie.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Wskazanie, którego dotyczy wniosek nie zawiera się we wskazaniu rejestracyjnym produktu leczniczego Venclxyto. Tym samym dla niniejszego wskazania EMA nie przeprowadziła oceny relacji korzyści do ryzyka.

Ekspert kliniczny, ankietowany przez Agencję, relację korzyści do ryzyka stosowania leku określił pozytywnie, a dokładnie: „Nie wiadomo w jakim wieku jest pacjent i nie wiadomo, czy potencjalnie może się kwalifikować do allotransplantacji komórek krwiotwórczych, nie można więc ocenić wszystkich elementów mających wpływ na rokowanie i ew. podejście terapeutyczne. Ryzyko związane ze stosowaniem wenetoklaksu należy ocenić jako znikome, więc jakakolwiek ew. odpowiedź na to leczenie będzie korzyścią dla pacjenta w tej bardzo złej sytuacji”.

Konkurencyjność cenowa

Według wniosku załączonego do zlecenia MZ koszt brutto 3-miesięcznej terapii wynosi: ██████████ zł. Koszt ten jest niższy niż ten wyliczony na podstawie Obwieszczenia MZ.

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

Ekspert kliniczny, wskazał, że liczba pacjentów, u których można zastosować wnioskowaną technologię lekową w ramach RDTL wyniesie od 5 do 10 pacjentów rocznie.

Na podstawie przyjętych założeń koszt finansowania 3-miesięcznej terapii ze środków publicznych ocenianej technologii lekowej w ramach RDTL u 5 pacjentów wyniesie ██████████ zł, a u 10 pacjentów wyniesie ██████████ zł. Koszt ten jest niższy niż ten wyliczony na podstawie Obwieszczenia MZ.

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

Wytyczne NCCN (2020), ESMO (2016) i Pan-London Haemato-Oncology 2020 rekomendują w przypadku nawrotowej/opornej postaci T-ALL i T-LBL stosowanie schematów opartych na zastosowaniu fludarabiny w skojarzeniu z innymi lekami, tj.: schemat FLAG-IDA i FLAM. Drugim najczęściej rekomendowanym lekiem jest nelarabina sama lub w skojarzeniu z etopozydem i cyklofosfamidem oraz terapia

hyperCVAD (hiperfrakcjonowany cyklofosfamid, winkrystyna, doksorubicyna, deksametazon naprzemiennie z wysokimi dawkami metotreksatu i cytarabiny) (rekomendacja NCCN (2020), PALG (2018) i Pan-London Haemato-Oncology (2018)).

Ekspert kliniczny wskazał, że obecnie w Polsce w ocenianym wskazaniu stosowane są:

„Podobnie jak w przypadku T-ALL, nie ma skutecznego leczenia choroby nawrotowej, przeżycie wynosi <7%. Odpowiedź na konwencjonalną chemioterapię typu FLAG (fludarabina, cytarabina, G-CSF) +/- idarubicyna wynosi 30-40%, a mediana OS ok. 6 m-cy u pacjentów, którzy odpowiedzieli.

Nelarabina jest wskazana specjalnie dla tej grupy chorych”.

Zgodnie z art. 47d ust 1 ustawy o świadczeniach ocenianą technologię lekową można zastosować, jeżeli u danego pacjenta zostały wyczerpane wszystkie możliwe do zastosowania w danym wskazaniu dostępne technologie medyczne finansowane ze środków publicznych. Biorąc pod uwagę ww. zapis, odnalezione wytyczne kliniczne, opinie ekspertów klinicznych oraz dotychczasowy przebieg leczenia pacjenta (pacjent przeszedł już 3 linie leczenia rekomendowanego przez wytyczne, w tym leczenie m.in. nelarbiną, można stwierdzić, że dla ocenianej technologii lekowej nie ma technologii alternatywnej, rozumianej jako aktywne leczenie.

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.), opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych nr: OT.422.30.2020 „Venclyxto (wenetoklaks) we wskazaniu: chłoniak limfoblastyczny T-komórkowy (ICD-10: C83.5)”. Data ukończenia: 23.04.2020 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone kolorem czarnym stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców AbbVie Polska Sp. z o. o.

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem AbbVie Polska 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: AbbVie Polska Sp. z o. o.