



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 97/2020 z dnia 4 maja 2020 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Venclyxto (venetoclaxum), we wskazaniu: ostra białaczka szpikowa (ICD-10: C92.0)

Rada Przejrzystości uważa za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Venclyxto (venetoclaxum), tabletki powlekane, 100 mg, we wskazaniu: ostra białaczka szpikowa (ICD-10: C92.0).

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Ostra białaczka szpikowa należy do najgorzej rokujących nowotworów hematologicznych. Jeżeli nie jest leczona, przeżycie od rozpoznania do zgonu nie przekracza 2 miesięcy. Z uwagi na toksyczność terapii choroby po 60 r.ż. leczeni są niższymi dawkami leków, często bez antracyklin. U większości chorych dąży się do przeszczepu komórek macierzystych.

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Wenetoklaks jest silnie działającym, selektywnym inhibitorem białka antyapoptotycznego Bcl-2 (ang. B-cell lymphoma 2), który wykazał się pewną skutecznością w grupie chorych z ostrą białaczką szpikową. Dowody naukowe opierają się na badaniach niskiej jakości. Przegląd systematyczny Bewersdorf 2020 dotyczący postaci nawrotowej i odpornej, obciążony znaczną heterogenicznością, w tym stosowanych dawek leku, wykazał, że mediana OS w poszczególnych badaniach z zastosowaniem wenetoklaksu w monoterapii wynosiła od 12,1 do 16,6, z zastosowaniem wenetoklaksu + HMA / LDAC wynosiła 4,8 do 12,1 miesiąca, przy czym nie ma odniesienia do grupy kontrolnej. W badaniu Wei 2019, mediana przeżycia w grupie leczonej wenetoklaksem wynosiła 10,1 miesiąca. Lek w tym wskazaniu został zarejestrowany w trybie przyspieszonym przez FDA, ale nie przez EMA, które oczekuje na dane o bezpieczeństwie leku stosowanych w wyższych dawkach w tym wskazaniu.



Bezpieczeństwo stosowania

Do najczęściej obserwowanych zdarzeń niepożądanych 3. lub 4. stopnia należały zdarzenia hematologiczne, w tym gorączka neutropeniczna (42%), małopłytkowość (38%), neutropenia (27%) i anemia (27%). Natomiast najczęściej występującymi zdarzeniami niehematologicznymi, dowolnego stopnia i przyczyny, były: nudności (70%), biegunka (49%), hipokaliemia (48%) oraz zmęczenie (43%). Ciężkimi AE, które odnotowano u co najmniej 5% badanych były: anemia (31%), gorączka neutropeniczna (27%), zapalenie płuc (10%) i sepsa (7%). U 55% pacjentów doszło do przerwania leczenia wenetoklaksem z powodu AE, a u 7% chorych konieczne było zmniejszenie dawki leku.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Dla niniejszego wskazania EMA nie przeprowadziła oceny relacji korzyści do ryzyka.

Konkurencyjność cenowa

Koszt terapii jest [REDAKTOWANE] od terapii decytabiną.

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

Koszt 3 miesięcznej terapii wynosi [REDAKTOWANE] PLN, a według obwieszczenia MZ 24 766,56 PLN.

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

Alternatywę dla tej populacji chorych stanowią leki hipometylujące HMA (azacytydyna lub decytabina) w połączeniu z cytarabiną w niskich dawkach.

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 nr: OT.422.35.2020 „Venclxyto (venetoclaxum) we wskazaniu: ostra białaczka szpikowa (ICD-10: C92.0)”, data ukończenia: 30.04.2020.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców *AbbVie Polska Sp. z o.o., Janssen-Cilag International NV*.

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem *AbbVie Polska Sp. z o.o., Janssen-Cilag International NV* 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., Janssen-Cilag International NV*.