



Opinia nr 51/2020

z dnia 14 maja 2020 r.

Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych leku Zydelig (idelalizyb) we wskazaniu: przewlekła białaczka limfocytowa (ICD-10: C91.1), w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych

Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, biorąc pod uwagę kryteria, o których mowa w art. 12 pkt 3-6 oraz pkt 8-10 ustawy z dnia 12 maja 2011 roku o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2020 poz. 357) **opiniuje pozytywnie** zasadność finansowania ze środków publicznych leku Zydelig (idelalizyb) we wskazaniu: przewlekła białaczka limfocytowa (ICD-10: C91.1), w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych

Uzasadnienie opinii

Prezes Agencji, biorąc pod uwagę opinię Rady Przejrzystości oraz dostępne dowody naukowe, uważa finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych (RDTL), produktu leczniczego Zydelig (idelalizyb) we wskazaniu: przewlekła białaczka limfocytowa (ICD-10: C91.1) za zasadne.

Do analizy klinicznej włączono retrospektywne kohortowe badanie Mato 2020, którego celem była analiza wyników leczenia pacjentów z przewlekłą białaczką limfocytową (ang. chronic lymphocytic leukemia, CLL) po zaprzestaniu leczenia standardową terapią – wenetoklaksem. Jedną z kohort stanowili pacjenci, którzy przed leczeniem wenetoklaksem stosowali inhibitory kinazy Brutona (BTKI – ang. *Bruton's tyrosine kinase inhibitors*), ale nie stosowali wcześniej inhibitorów kinazy 3-fosfatydyloinozytolu (PI3K – ang. *phosphatidyl inositol 3-kinase*), natomiast po wenetoklaksie otrzymali idelalizyb bądź duwelizib (N=17). Mediana wcześniejszych linii leczenia wynosiła 4 (zakres: 1-6). Tak zdefiniowana populacja (spośród dostępnych w literaturze) najlepiej odpowiadała wnioskowanej, gdzie dotyczy pacjentów po 6 liniach leczenia, w tym po leczeniu ibrutinibem (lek należący do grupy BTKI) oraz po leczeniu wenetoklaksem. Zgodnie z publikacją całkowity odsetek odpowiedzi wynosił 46,9%, w tym remisję całkowitą uzyskało 5,9% pacjentów, a remisję częściową uzyskało 35,2% pacjentów. Mediana przeżycia wolnego od progresji wynosiła 5 miesięcy (przy medianie follow-up wynoszącej 5 miesięcy).



Dodatkowo do analizy klinicznej włączono przegląd systematyczny z metaanalizą (Puła 2017) dotyczący skuteczności i bezpieczeństwa inhibitorów szlaku sygnałowego receptora limfocytu B (ang. *B cell receptor*, BCR), idelalizybu i ibrutynibu w leczeniu nawrotowej lub opornej na leczenie przewlekłej białaczki limfocytowej (CLL).

Wyniki przeglądu wskazują, że u pacjentów stosujących terapię skojarzoną zawierającą idelalizyby odnotowano istotnie statystycznie niższe zarówno ryzyko zgonu (o 41%) oraz ryzyko progresji choroby (o 74%) w porównaniu do komparatora. W zakresie oceny odpowiedzi na leczenie uzyskano istotnie statystycznie wyższe prawdopodobieństwo uzyskania ogólnej odpowiedzi na leczenie oraz odpowiedzi częściowej.

Ponadto, w ocenie zasadności finansowania ww. technologii lekowej wzięto pod uwagę, iż zastosowanie idelalizybu w leczeniu CLL jest zalecane przez polskiej oraz przez europejskie wytyczne kliniczne.

Mając na względzie powyższe oraz niezaspokojoną potrzebę medyczną w zdefiniowanej zleceniem populacji, należy uznać za zasadne finansowanie idelalizybu w przewlekłej białaczce limfocytowej w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych.

Przedmiot zlecenia

Zlecenie Ministra Zdrowia (MZ) dotyczy sporządzenia przez Agencję opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych produktu leczniczego Zydelig (idelalizyby), we wskazaniu: przewlekła białaczka limfocytowa (ICD10: C91.1), w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, na podstawie art. 47f ust. 1 lub 2 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz.U. z 2020 r., poz. 357).

Zgodnie ze zleceniem populację docelową stanowią pacjenci z przewlekłą białaczką limfocytową z mutacją TP53, u których dotychczas zastosowano:

- rytuksymab;
- schemat CHOEP – cyklofosfamid, doksorubicyna, winkrystyna, etopozyd, prednizolon;
- ibrutynib;
- schemat DHAP – deksametazon, cytarabina, cisplatyna;
- Hyper-CVAD – cyklofosfamid, winkrystyna, doksorubicyna, deksametazon;
- wenetoklaks.

Problem zdrowotny i istotność stanu klinicznego

Przewlekła białaczka limfocytowa (ang. *chronic lymphocytic leukemia*, CLL) jest chorobą nowotworową morfologicznie dojrzałych limfocytów występujących we krwi, szpiku kostnym, tkance limfatycznej i w innych narządach.

CLL stanowi najczęstszą postać białaczki w Europie i Ameryce Północnej. Zapadalność roczna wynosi ~5/100 tys. i wzrasta wraz z wiekiem – powyżej 60 r.ż. wynosi ~20/100 tys.

Przebieg naturalny CLL jest bardzo zróżnicowany. W większości przypadków po fazie łagodnego przebiegu choroba kończy się okresem ciężkich powikłań i zgonem (po 5-10 latach). Przebieg łagodny, z czasem przeżycia sięgającym 10-20 lat, w którym zgony zwykle są związane z progresją CLL lub zakażeniem, występuje u <30% chorych. U niektórych chorych choroba przebiega od początku agresywnie i prowadzi do zgonu w ciągu 2-3 lat.

Najczęstszą przyczyną zgonów w przebiegu CLL są zakażenia (~50% chorych), zwykle zapalenie płuc i sepsa; inne przyczyny to krwotoki i wyniszczenie. U chorych na CLL ryzyko wystąpienia innego nowotworu złośliwego jest 2-7 razy większe niż w populacji ogólnej.

Gen TP53, zlokalizowany na chromosomie 17 (17p13.1), odgrywa kluczową rolę w patomechanizmie rozrostu nowotworowego guzów litych oraz białaczek. Różne zmiany w genie TP53 pojawiają się w chwili rozpoznania CLL u 5–15% pacjentów, zwłaszcza u tych z karyotypem złożonym. Podczas progresji choroby częstość pojawiania się zmian znacznie wzrasta. Znacznie krótszy czas przeżycia i gorsze rokowanie obserwuje się w całej grupie chorych ze wszystkimi poznanymi mutacjami genu TP53. Obecność mutacji TP53 uważa się obecnie za jeden z ważniejszych, niekorzystnych rokowniczo czynników u chorych z CLL.

Alternatywne technologie medyczne

Odnalezione wytyczne kliniczne nie wymieniają żadnych technologii nier refundowanych, które mogłyby stanowić alternatywę dla idelalizybu. Duwelizyb, podobnie jak wnioskowany lek, jest inhibitorem 3-kinazy fosfatydyloinozytolu, ale aktualnie nie jest zarejestrowany w EMA, w związku z czym nie może stanowić komparatora dla wnioskowanej technologii.

Opis wnioskowanej technologii medycznej

Idelalizyb hamuje 3-kinazę fosfatydyloinozytolu p110δ (PI3Kδ), która wykazuje nadaktywność w B-komórkowych nowotworach złośliwych i ma podstawowe znaczenie dla wielu szlaków sygnalizacyjnych, które kierują proliferacją, przeżyciem, umiejscowieniem i retencją komórek nowotworowych w tkankach limfoidalnych i szpiku kostnym. Idelalizyb jest wybiórczym inhibitorem wiązania adenozyno-5'-trifosforanu (ATP) z domeną katalityczną PI3Kδ, prowadząc do zahamowania fosforylacji fosfatydyloinozytolu, kluczowego lipidowego wtórnego przekaźnika i zapobieżenia fosforylacji Akt (kinazy białkowej B).

Zgodnie z ChPL, produkt leczniczy Zydelig jest wskazany:

- w terapii skojarzonej z rytuksymabem w leczeniu dorosłych pacjentów z przewlekłą białaczką limfocytową, którzy:
 - uprzednio otrzymywali co najmniej jedną terapię,
 - w leczeniu pierwszego rzutu w przypadku występowania delecji 17p lub mutacji TP53, nie kwalifikują się do innych terapii.
- w monoterapii u dorosłych pacjentów z chłoniakiem grudkowym (FL – ang. *Follicular Lymphoma*), który jest oporny na dwie wcześniej zastosowane linie leczenia.

Wnioskowane wskazanie dotyczy leczenia dorosłych pacjentów z przewlekłą białaczką limfocytową z mutacją TP53, u których dotychczas zastosowano 6 linii leczenia (w tym ibrutynib oraz wenetoklaks), dlatego też można założyć, że mieści ono we wskazaniu rejestracyjnym dotyczącym terapii skojarzonej z rytuksymabem w leczeniu dorosłych pacjentów z przewlekłą białaczką limfocytową, którzy uprzednio otrzymali co najmniej jedną terapię.

Ocena skuteczności (klinicznej i praktycznej) oraz bezpieczeństwa stosowania, w tym ocena relacji korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Do analizy klinicznej włączono retrospektywne kohortowe badanie Mato 2020, obejmujące pacjentów leczonych w latach 2014-2019. Celem publikacji była analiza wyników leczenia pacjentów z przewlekłą białaczką limfocytową (CLL) za pomocą różnych schematów terapeutycznych. Do badania włączono 326 pacjentów: 4% (n=13) stosowało lek jako pierwszą linię leczenia, natomiast 96% (n=313) w nawrotowej lub odpornej CLL. Mediana liczby linii leczenia przed wenetoklaksem wyniosła 3 (0-11).

Wyjściowa charakterystyka dla części pacjentów z badania jest porównywalna do analizowanego w ramach niniejszego zlecenia przypadku: 45% pacjentów miało mutację TP53, 56% miało delecję 17p lub mutację TP53, a 60% stosowało ibrutynib przed wenetoklaksem.

Dodatkowo włączono przegląd systematyczny z metaanalizą randomizowanych badań klinicznych Puła 2017, dotyczący skuteczności i bezpieczeństwa inhibitorów szlaku sygnałowego receptora limfocytu B (ang. *B cell receptor*, BCR), idelalazybu (N=897) i ibrutynibu (N=969) w leczeniu nawrotowej lub odpornej na leczenie przewlekłej białaczki limfocytowej (CLL). Do przeglądu włączono 22 publikacje, w tym artykuły opisujące wyniki dwóch badań klinicznych dotyczących ibrutynibu: Byrd 2014 (N=391); Chanan-Khan 2015 (N=578) oraz 10 publikacji opisujących wyniki trzech badań klinicznych dotyczących idelalazybu: Furman 2014 (N=220); Jones 2017 (N=261); Zelenetz, 2017 (N=416).

Przed rozpoczęciem terapii idelalazybem u pacjentów stosowano najczęściej: rytuksymab, cyklofosfamid, fludarabinę, bendamustynę, chlorambucyl (brak informacji o stosowaniu ibrutynibu lub wenetoklaksu). Mediana liczby wcześniejszych terapii wynosiła 3 (zakres: 1-12) (Furman 2014), 3 (IQR: 2-4) (Jones 2017) i 2 (IQR: 1-4) (Zelenetz, 2017). Włączone badania porównywały skuteczność i bezpieczeństwo idelalazybu względem rytuksymabu (Furman 2014), ofatumumabu (Jones 2017) lub bendamustyny z rytuksymabem (Zelenetz 2017).

Celem oceny skuteczności posłużono się następującymi parametrami:

- HR – ang. *Hazard ratio*, iloraz hazardów;
- RR – ang. *Risk ratio*, ryzyko względne.

Skuteczność kliniczna

W ramach publikacji Mato 2020 jedną z kohort stanowili pacjenci, którzy przed leczeniem wenetoklaksem stosowali BTKI (w tym ibrutynib), a nie stosowali inhibitorów PI3K, natomiast po leczeniu wenetoklaksem otrzymali idelalazyb bądź duwelazyb (N=17). Mediana wcześniejszych linii leczenia wynosiła 4 (zakres: 1-6). Tak zdefiniowana populacja (spośród dostępnych w literaturze) najlepiej odpowiadała wnioskowanej. Zgodnie z publikacją uzyskano następujące efekty:

- całkowity odsetek odpowiedzi wyniósł 46,9%;
- remisję całkowitą uzyskało 5,9% pacjentów;
- remisję częściową uzyskało 35,2% pacjentów;
- częściowa remisja z limfocytozą wystąpiła u 5,8% pacjentów;
- stabilizacja choroby wystąpiła u 23,7% pacjentów;
- progresja choroby wystąpiła u 29,4% pacjentów;
- mediana przeżycia wolnego od progresji wynosiła 5 miesięcy (przy medianie follow-up wynoszącej 5 miesięcy);
- odsetek pacjentów, którzy przerwali leczenie wynosił 78%. Przyczyny przerwania leczenia były następujące:
 - progresja choroby – 58,3%;
 - zdarzenia niepożądane – 25%;
 - transformacje – 16,7%.

Dla porównania u pacjentów, którzy przed wenetoklaksem stosowali BTKi (u 33% wystąpiła nietolerancja, a u 66% oporność), a po leczeniu wenetoklaksem otrzymali ponownie BTKi (ibrutynib, akalabrutynib, niekwalencyjne BTKi), uzyskano następujące wyniki (N=30):

- całkowity odsetek odpowiedzi wynosił – 53,4%;
- remisję całkowitą uzyskało 10,0% pacjentów;
- remisję częściową uzyskało 26,7% pacjentów;
- częściowa remisja z limfocytozą wystąpiła u 16,7% pacjentów;
- stabilizacja choroby wystąpiła u 23,3% pacjentów;

- progresja choroby wystąpiła u 23,3% pacjentów;
- mediana przeżycia wolnego od progresji wynosiła 12 miesięcy (przy medianie follow-up wynoszącej 3,5 miesiąca);
- odsetek pacjentów, którzy przerwali leczenie wynosił 38%. Przyczyny przerwania leczenia były następujące:
 - progresja choroby – 66,6%;
 - zdarzenia niepożądane – 8,3%;
 - zgony niezwiązane z leczeniem – 8,3%;
 - nagły zgon związany z leczeniem – 16,6%.

Zgodnie z przeglądem Puła 2017 u pacjentów stosujących terapię skojarzoną zawierającą idelalizyb odnotowano istotnie statystyczne różnice względem komparatora w następujących punktach końcowych:

- niższe o 41% ryzyko zgonu w populacji ogólnej – HR=0,59 (95% CI: 0,40-0,86);
- niższe ryzyko progresji choroby:
 - o 74% w populacji ogólnej – HR= 0,26 (95% CI: 0,18-0,37);
 - o 71% w podgrupie pacjentów z delecją 17p – HR=0,29 (95% CI: 0,11-0,76);
 - o 75% w podgrupie pacjentów, u których nie wykryto delecji 17p – HR=0,25 (95% CI: 0,18-0,34);
- w zakresie oceny odpowiedzi na leczenie:
 - ponad trzykrotnie wyższe prawdopodobieństwo uzyskania ogólnej odpowiedzi na leczenie – RR: 3,32 (95% CI: 1,20-9,16);
 - ponad trzykrotnie wyższe prawdopodobieństwo uzyskania odpowiedzi częściowej – RR: 3,27;
 - niższe o 88% ryzyko odnotowania progresji choroby – RR=0,12 (95% CI: 0,02-0,67).

W ramach przeprowadzonej metaanalizy nie wykazano różnic istotnych statystycznie w zakresie uzyskania odpowiedzi całkowitej.

W pojedynczych odnalezionych badaniach wykazano między innymi istotną statystycznie przewagę w odniesieniu do następujących punktów końcowych:

- dla porównania idelalizyb + rytuksymab vs rytuksymab (Furman 2014):
 - niższe o 72% ryzyko zgonu – HR=0,28 (95% CI: 0,09; 0,87);
 - niższe o 85% ryzyko progresji choroby – HR=0,15 (95% CI: 0,08; 0,28);
 - średnio ponad 6-krotnie wyższe prawdopodobieństwo uzyskania ogólnej odpowiedzi na leczenie – RR= 6,45 (95% CI: 3,68; 11,32)
- dla porównania idelalizyb + ofatumumab vs ofatumumab (Jones 2017):
 - niższe o 73% ryzyko progresji choroby – HR=0,27 (95% CI: 0,19; 0,39);
 - średnio ponad 4-krotnie wyższe prawdopodobieństwo uzyskania ogólnej odpowiedzi na leczenie – RR= 4,02 (95% CI: 2,58; 6,27)
- dla porównania idelalizyb + bendamustyna + rytuksymab vs bendamustyna + rytuksymab (Zelenetz 2017):
 - niższe o 45% ryzyko zgonu – HR=0,55 (95% CI: 0,36; 0,85);
 - niższe o 67% ryzyko progresji choroby – HR=0,33 (95% CI: 0,24; 0,45);

- o wyższe o 51% prawdopodobieństwo uzyskania ogólnej odpowiedzi na leczenie – RR= 1,51 (95% CI: 1,27; 1,81).

Nie wykazano różnic istotnych statystycznie dla przeżycia całkowitego w porównaniu schematów idelalizyb + ofatumumab vs ofatumumab.

Bezpieczeństwo

Zgodnie z przeglądem Puła 2017w grupie pacjentów stosujących idelalizyb (N=490) nie odnotowano zwiększonego ryzyka zdarzeń niepożądanych (ang. *adverse events, AE*) każdego stopnia w porównaniu do grupy pacjentów z CLL stosujących inne terapie (N=402). Ryzyko wystąpienia AE stopnia 3 lub 4 było wyższe o 33% (RR: 1,33; 95% CI: 1,09-1,62), wzrosło również o 38% ryzyko poważnych zdarzeń niepożądanych (RR: 1,38; 95% CI: 1,08-1,76). Nie stwierdzono istotnego statystycznie wzrostu ryzyka wystąpienia AE, które skutkowało przerwaniem leczenia lub zgonem.

Zgodnie z ChPL dla leku Zydelig do bardzo często ($\geq 1/10$) występujących działań niepożądanych stopnia ≥ 3 należą: zakażenia (w tym zapalenie płuc wywołane przez *Pneumocystis jirovecii* i CMV), neutropenia, limfocytoza, biegunka i (lub) zapalenie okrężnicy, zwiększenie aktywności aminotransferaz.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Wnioskowane wskazanie zawiera się w rejestracyjnym zawartym w ChPL leku Zydelig. EMA w swoim raporcie oceniającym wskazała, że stosunek korzyści do ryzyka w zatwierdzonych wskazaniach pozostaje dodatni, pod warunkiem, że idelalizyb jako leczenie pierwszego rzutu jest stosowany tylko u pacjentów z delecją 17p lub mutacją TP53, którzy nie kwalifikują się do żadnej innej terapii, oraz że w charakterystyce produktu zostaną wprowadzone zmiany minimalizujące ryzyko poważnych infekcji.

Nie otrzymano opinii od żadnego z trzech ekspertów, do których wystąpiono z prośbą.

Ograniczenia analizy

Podstawowym ograniczeniem powyższych wyników pozostaje brak prospektywnych badań w populacji zdefiniowanej zleceniem, czyli w populacji pacjentów po 6 liniach leczenia, w tym po leczeniu ibrutynibem (należący do BTKI) oraz po leczeniu wenetoklaksem. Odnalezione badanie było retrospektywne, a kohorta zbliżona do wnioskowanej liczyła jedynie 17 pacjentów.

Efektywność technologii alternatywnych

Nie zidentyfikowano technologii alternatywnych.

Ocena konkurencyjności cenowej

Według wniosku załączonego do zlecenia MZ koszt 3-miesięcznej terapii wynosi: ██████████ zł brutto (we wniosku nie podano kosztu netto).

Ograniczenia

Należy podkreślić, że powyższe obliczenia mogą nie odzwierciedlać rzeczywistego kosztu terapii, np. ze względu na zawarte umowy RSS, nieuwzględnienie innych kosztów ponoszonych przez NFZ oraz niepewność co do skuteczności i czasu trwania terapii u wnioskowanego pacjenta.

Ocena wpływu na system ochrony zdrowia, w tym wpływu na budżet płatnika publicznego i świadczeniobiorców

Zgodnie z danymi NFZ liczba pacjentów z rozpoznaniem głównym lub współistniejącym wg ICD10: C91.1 wyniosła 18 892 w 2017 r., 19 806 w 2018 r. i 17 496 w 2019 r. Ibrutynib został zrefundowany

u 253 pacjentów w 2018 r. i u 354 w 2019 r., natomiast wenetoklaks u 16 pacjentów w 2019 r. – u połowy z nich zrefundowano także ibrutynib.

Do czasu zakończenia prac nad niniejszym opracowaniem nie otrzymano opinii od ekspertów klinicznych, w związku z czym wpływ na budżet płatnika publicznego oszacowano w oparciu o dane NFZ. Liczebność populacji docelowej przyjęto w oparciu o liczbę pacjentów, u których zrefundowano zarówno ibrutynib jak i wenetoklaks. Należy przy tym podkreślić, że z jednej strony jest to populacja szersza niż wnioskowana, gdyż nie wszyscy pacjenci będą wymagać zastosowania kolejnej linii leczenia ze względu na niepowodzenie terapii. Z drugiej strony oszacowanie to nie uwzględnia pacjentów z przeciwwskazaniami do leczenia wenetoklaksem lub ibrutynibem, którzy także mogą wchodzić w skład populacji docelowej dla idelalizybu stosowanego w ramach RDTL.

Na podstawie przyjętych założeń koszt finansowania ze środków publicznych ocenianej technologii lekowej w ramach RDTL u 8 pacjentów przez 3 miesiące wyniesie: ██████████ zł brutto.

Należy podkreślić, że powyższe obliczenia mogą nie odzwierciedlać rzeczywistych wydatków ponoszonych przez płatnika publicznego w związku z refundacją wnioskowanej technologii lekowej, np. ze względu na niepewności dotyczące rzeczywistej: ceny leku, liczby pacjentów (w tym odsetka pacjentów, u których leczenie wenetoklaksem będzie nieskuteczne), czy czasu leczenia.

Omówienie rekomendacji w odniesieniu do ocenianej technologii

Według polskich wytycznych Polskie Towarzystwo Hematologów i Transfuzjologów (PTHiT) i Polish Adult Leukemia Group dla CLL (PALG-CLL) 2016 idelalizybu w skojarzeniu z rytuksymabem jest zalecany u pacjentów z delecją 17p lub mutacją TP 53 – zarówno u pacjentów z nawrotem do 24 miesięcy, jak i po 24 miesiącach od rozpoczęcia terapii I linii, a także w przypadku oporności. Ponadto, na tym etapie ścieżki terapeutycznej wytyczne zalecają ibrutynib, HDMP/-R oraz udział w badaniach klinicznych.

Według wytycznych European Society for Medical Oncology (ESMO) 2015 (aktualizacja 2017) pacjenci po niepowodzeniu terapii z zastosowaniem inhibitorów BCR, powinni przejść na leczenie antagonistami BCL2, jeśli są dostępne. Terapią drugiego wyboru jest zmiana leczenia na inny inhibitor BCR, np. z inhibitora BTK na inhibitor PI3K lub na odwrót (idelalizybu jest inhibitorem BTK).

Należy zwrócić uwagę, że o ile w polskich wytycznych idelalizybu pojawia się tylko w ścieżce terapeutycznej dla pacjentów z delecją 17p lub mutacją TP53, to w wytycznych ogólnoeuropejskich nie ma takiego ograniczenia.

Zarówno polskie wytyczne jak i ogólnoeuropejskie w przypadku odpornej lub nawrotowej przewlekłej białaczki limfocytowej oprócz idelalizybu zalecają stosowanie ibrutynibu. W wytycznych ESMO 2015 (aktualizacja 2017) dodatkowo zalecany jest także wenetoklaks. W wytycznych PTHiT/PALG-CLL 2016 wśród terapii alternatywnych dla idelalizybu wymienione są także wysokie dawki metyloprednizolonu z rytuksymabem (HDMP-R). W obu wytycznych u pacjentów młodszych bez chorób współistniejących zaleca się allo-HSCT.

Podstawa przygotowania opinii

Opinia została przygotowana na podstawie zlecenia z dnia: 08.04.2020 Ministra Zdrowia (znak pisma: PLD.4530.530.2020.AK), odnośnie przygotowania opinii Agencji w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych produktu Zydelig (idelalizybu) we wskazaniu: przewlekła białaczka limfocytowa (ICD-10: C91.1), na podstawie art. 47f ust. 1 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz.U. z 2020 r., poz. 357), na podstawie Opinii Rady Przejrzystości nr 104/2020 z dnia 11 maja 2020 roku w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Zydelig (idelalizybu) we wskazaniu: przewlekła białaczka limfocytowa (ICD10: C91.1) oraz Raportu nr OT.422.392020. Zydelig (idelalizybu) we wskazaniu: przewlekła białaczka limfocytowa (ICD-10: C91.1). Opracowanie w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych

PREZES

dr n. med. Roman Topór-Mądry

/dokument podpisany elektronicznie/