



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 173/2020 z dnia 13 lipca 2020 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych,
w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku
Venclxyto (wenetoklaks) we wskazaniu: pierwotna białaczka
plazmocytoza (ICD-10 C90.1)

*Rada Przejrzystości uważa za zasadne finansowanie ze środków publicznych,
w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leków:*

- Venclxyto (wenetoklaks), 14 tab. powlekanych à 10 mg, kod EAN 8054083013688,
- Venclxyto (wenetoklaks), 7 tab. powlekanych à 50 mg, kod EAN 8054083013718,
- Venclxyto (wenetoklaks), 7 tab. powlekanych à 100 mg, kod EAN 8054083013695,
- Venclxyto (wenetoklaks), 14 tab. powlekanych à 100 mg, kod EAN 8054083013701,
- Venclxyto (wenetoklaks), 112 tab. powlekanych à 100 mg, kod EAN 8054083013916

we wskazaniu: pierwotna białaczka plazmocytoza (ICD-10 C90.1).

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Białaczka plazmatycznokomórkowa (ang. plasma cell leukemia, PCL) (ICD-10 C90.1) to nowotworowy rozrost plazmocytoz o agresywnym przebiegu. Wyróżnia się pierwotną postać PCL i wtórną, która występuje jako schyłkowe stadium szpiczaka mnogiego. Jest to choroba rzadka (4/10 000 000 osób na rok), w połowie jako pierwotna PCL. Translokacja t(11;14) występuje u 26-60% pacjentów z pierwotną PCL i wiąże się z wysoką ekspresją białka antyapoptotycznego Bcl-2. Venclxyto jest jego selektywnym inhibitorem.

Zgodnie ze zleceniem, wenetoklaks miałby być stosowany u pacjenta, u którego stosowano m.in. łącznie 3 cykle VDT-PACE (bortezomib, deksametazon, talidomid, cisplatyna, doksorubicyna, cyklofosfamid, etopozyd), uzyskując bardzo dobrą odpowiedź częściową. Pacjent nie mógł jednak mieć



autologicznego przeszczepienia komórek krwiotwórczych, gdyż nie zmobilizował dostatecznej ilości komórek macierzystych. Wykazano u niego istnienie translokacji pomiędzy chromosomami 11 i 14 pary w regionie prążków 11q13 i 14q32.

Lek Venclyxto nie podlegał ocenie Agencji w analizowanym wskazaniu.

Skuteczność kliniczna i praktyczna

W ramach przeglądu nie odnaleziono przekonujących dowodów skuteczności leku.

Odnaleziono tylko 3 opisy przypadków: Jelinek 2019, w którym wenetoklaks stosowany był w monoterapii oraz Gonsalves 2017 i Nalghranyan 2019, w których stosowany był w skojarzeniu.

We wszystkich 3 przypadkach terapię wenetoklaksem rozpoczęto ze względu na obecność translokacji pomiędzy chromosomami 11 i 14 pary, uzyskując pełną remisję choroby. Lek stosowany był w innej dawce niż wnioskowana.

Bezpieczeństwo stosowania

Lek jest stosunkowo bezpieczny i był dobrze tolerowany u 3 opisanych pacjentów.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Ostrej białaczki plazmatycznokomórkowej nie ma we wskazaniu rejestracyjnym produktu leczniczego Venclyxto, więc EMA nie przeprowadziła oceny relacji korzyści do ryzyka.

Nie otrzymano opinii od żadnego z poproszonych o opinię ekspertów.

Konkurencyjność cenowa

Nie odnaleziono danych, pozwalających na określenie użyteczności wenetoklaksu u pacjentów z białaczką plazmatycznokomórkową.

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

Łączny koszt 3-mies. terapii wenetoklaksem brutto wynosi ██████████ PLN. Koszt ten jest ██████████ od wyliczonego na podstawie Obwieszczenia MZ (55,3 tys. PLN brutto).

Oszacowania populacji dokonano na podstawie danych o stosowaniu produktu Darzalex (daratumumab) w PCL, przyjmując, że w pierwotnej postaci choroby 43% pacjentów ma translokację między chromosomami 11 i 14 pary. Schemat dawkowania wenetoklaksu oparto o ChPL.

Przy założeniu, że pacjenci z populacji docelowej będą leczeni przez 12 miesięcy, roczny koszt terapii wenetoklaksem dla płatnika publicznego dla 56 pacjentów wyniesie odpowiednio:

- ok. ██████████ przy uwzględnieniu ceny ze zlecenia MZ;
- ok. 16,96 mln PLN przy uwzględnieniu ceny z Obwieszczenia MZ.

Powyższe obliczenia mogą nie odzwierciedlać rzeczywistych wydatków ponoszonych przez płatnika publicznego, głównie ze względu na niepewności, dotyczące oszacowania liczebności populacji docelowej.

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

Europejskie wytyczne EMN 2018 w PCL nawrotowej lub opornej na leczenie zalecają stosowanie terapii skojarzonej lenalidomidem lub bortezomibem oraz rozważenie stosowania nowych terapii, takich jak: kenalidomid lub pomalidomid z deksametazonem i karfilzomibem lub przeciwciałami monoklonalnymi (daratumumab lub elotuzumab).

U pacjenta zastosowano już rekomendowane przez wytyczne terapie, tj. schemat VDT-PACE oraz leczenie immunomodulujące (talidomid) w połączeniu z inhibitorem proteasomu (bortezomib). W związku z powyższym, z potencjalnych komparatorów wykluczono również nowe terapie, tj. inhibitory proteasomów (karfilzomib) i immunoterapie (lenalidomid, pomalidomid i kenalidomid).

Biorąc pod uwagę powyższe argumenty, jako komparator dla technologii wnioskowanej, przyjęto brak aktywnego leczenia (przy równoczesnym stosowaniu najlepszej terapii wspomagającej).

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.422.72.2020 „Venclxyto (wenetoklaks) we wskazaniu pierwotna białaczka plazmocytoza (ICD 10 C 90.1)”.
Data ukończenia: 9.07.2020.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone kolorem czarnym stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców AbbVie Deutschland GmbH & Co. KG.

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem AbbVie Deutschland GmbH & Co. KG. 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 Deutschland GmbH & Co. KG.