



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 323/2020 z dnia 7 grudnia 2020 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych,
w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych,
leku Imbruvica (ibrutinib) we wskazaniu: chłoniak Burkitta
(ICD-10: C83.7)

Rada Przejrzystości uważa za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Imbruvica (ibrutinib), kapsułki twarde 140 mg, opakowanie 90 kapsułek, we wskazaniu: chłoniak Burkitta (ICD-10: C83.7).

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Wniosek dotyczy 10-letniego dziecka ze wznową chłoniaka Burkitta, po zastosowaniu II linii leczenia z użyciem chemioterapii R-VICI. Po 2 cyklach chemioterapii R-VICIC (z ibrutinibem podawanym w sposób ciągły) uzyskano całkowitą odpowiedź metaboliczną. Chory oczekuje na rozpoczęcie procedury allo-HSCT (allogenicznego przeszczepu komórek macierzystych układu krwiotwórczego). Przed zaplanowaną transplantacją niezbędne jest prowadzenie terapii pomostowej z wykorzystaniem ibrutinibu. Należy zaznaczyć, że nieleczony skutecznie chłoniak Burkitta charakteryzuje się burzliwym przebiegiem choroby, bezpośrednio zagrażającym życiu w ciągu kilku tygodni od wystąpienia pierwszych objawów.

Skuteczność kliniczna i praktyczna

W wyniku przeglądu piśmiennictwa odnaleziono publikację Burke 2020 zawierającą wstępne wyniki badania III fazy – SPARKLE (NCT02703272), w którym udział brali pacjenci pediatryczni m.in. z chłoniakiem Burkitta. Interwencją stanowił ibrutinib, podawany z chemoimmunoterapią. Jest to randomizowane badanie, zaprojektowane w celu oceny skuteczności i bezpieczeństwa ibrutinibu u pacjentów pediatrycznych i młodych dorosłych z nawracającymi lub opornymi na leczenie chłoniakami nieziarniczymi z komórek B. Wśród pacjentów, u których leczenie zastosowano po pierwszym nawrocie, u 78,6% (n/N=11/14) raportowano odpowiedź na leczenie (CR n=5, PR n=6),



natomiast wśród pacjentów, u których leczenie zastosowano po drugim nawrocie, odpowiedź (PR) raportowano u jednego z siedmiu pacjentów (14,3%). Mediana przeżycia wolnego od zdarzeń, ocenionego przez badaczy, nie została osiągnięta w grupie leczonej schematem ibrutynib+RICE, natomiast w grupie ibrutynib+RVICI wyniosła 2,4 mies. Wyniki badania przemawiają za aktywnością ibrutynibu w omawianym wskazaniu. Jednocześnie, w odnalezionych zaleceniach klinicznych nie wskazano na możliwość zastosowania terapii ibrutynibem przed allo-HSCT u chorych na chłoniaka Burkita.

Bezpieczeństwo stosowania

W badaniu SPARKLE (Burke 2020) u wszystkich badanych chorych (n=21) raportowano co najmniej jedno zdarzenie niepożądane ≥ 3 . stopnia związane z leczeniem. Do najczęściej występujących ciężkich zdarzeń niepożądanych ≥ 3 . stopnia związanych z leczeniem, mających związek z podawaniem ibrutynibu, należały: trombocytopenia (42,9%), neutropenia (38,1%), anemia (33,3%) i gorączka neutropeniczna (19,0%). U 2 pacjentów w gr. ibrutynib+mRICE (18,2%) i u 3 pacjentów w gr. ibrutynib+RVICI (30,0%) raportowano ciężkie zdarzenia krwotoczne (3/4 stopnia), z czego dwa (w gr. ibrutynib+RVICI) uznano za związane z terapią IBR.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

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

Konkurencyjność cenowa

Według wniosku załączonego do zlecenia MZ koszt 30 dni terapii ibrutynibem wynosi: ██████████ PLN brutto. Ten sam koszt oszacowany na podstawie ceny hurtowej brutto z obwieszczenia MZ wynosi 24 551,27 PLN.

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

Na podstawie przyjętych założeń, koszt finansowania ze środków publicznych ocenianej technologii lekowej w ramach RDTL u ~180 pacjentów przez 30-dni terapii wyniesie około ██████████ PLN brutto według danych ze zlecenia MZ oraz 4,4 mln PLN brutto według danych z obwieszczenia MZ. Należy jednak mieć na uwadze, że powyższe oszacowania dotyczą populacji znacznie szerszej niż wnioskowana, obejmującej zarówno dorosłych jak i dzieci. Ponadto, oszacowanie to uwzględniona odsetka pacjentów z nawrotem choroby oraz kwalifikujących się do przeszczepu szpiku kostnego.

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

Zgodnie z raportem AOTMiT Rada uznała, że nie ma technologii alternatywnej dla wnioskowanej, 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 2020 r., poz. 1398), z uwzględnieniem opracowania nr: OT.422.149.2020 „Imbruvica (ibrutynib) we wskazaniu: chłoniak Burkitta (ICD-10: C83.7)”, data ukończenia: 2 grudnia 2020 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone kolorem czarnym stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy Janssen - Cilag International NV.

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem 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: Janssen - Cilag International NV.