



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 41/2021 z dnia 8 marca 2021 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Vidaza (azacytydyna) we wskazaniu: ostra białaczka szpikowa z nadekspresją genu BAALC i trisomią 13 – stan po allotransplantacji komórek krwiotwórczych (ICD-10: C92.0)

Rada Przejrzystości uważa za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Vidaza (azacytydyna), proszek do sporządzania zawiesiny do wstrzykiwań, fiołka 100 mg, we wskazaniu: ostra białaczka szpikowa z nadekspresją genu BAALC i trisomią 13 – stan po allotransplantacji komórek krwiotwórczych (ICD-10: C92.0)

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Ostra białaczka szpikowa (AML) jest nowotworem złośliwym układu białokrwinkowego. Charakteryzuje się obecnością klonu transformowanych komórek, wywodzących się z wczesnych stadiów mielopoezy. Ostre białaczki szpikowe stanowią około 80% wszystkich ostrych białaczek występujących u dorosłych. Mediana wieku chorych na AML wynosi 67 lat. Wniosek dotyczy pacjentki z rozpoznaniem AML M1 wg FAB, ze złożonym kariotypem, trisomią 13. chromosomu oraz nadekspresją genu BAALC, obecnie: ECOG=1, MRD= 0,35%, leczoną wcześniej m.in. wg protokołu PALG3 Leczenia Białaczek Wieku Starszego >60 r.ż, po allotransplantacji krwiotwórczych komórek macierzystych.

Zastosowanie azacytydyny u chorej z rozpoznaną ostrą białaczką szpikową z trisomią chromosomu 13 i nadekspresją genu BAALC jako leczenia choroby resztkowej po allotransplantacji komórek macierzystych jest, zdaniem konsultant wojewódzkiej z dziedziny hematologii, uzasadnione klinicznie. Jest to wskazanie nieobjęte rejestracją w krajach Unii Europejskiej.

W wytycznych międzynarodowych towarzystw naukowych wskazuje się, że stosowanie azacytydyny może stanowić mniej toksyczną alternatywę dla chemioterapii.



Skuteczność kliniczna i praktyczna

Co najwyżej umiarkowanej jakości dowody naukowe sugerują, że leczenie azacytydyną może być skuteczną strategią zapobiegania lub znacznego opóźnienia nawrotów hematologicznych, przy akceptowalnym profilu bezpieczeństwa terapii. Mała liczebność i niejednorodność grup badanych oraz niejednorodność punktów końcowych ograniczają jednak pewność wnioskowania.

Bezpieczeństwo stosowania

Najczęściej zgłaszanymi działaniami niepożądanymi w czasie leczenia azacytydyną były reakcje hematologiczne (71,4%), w tym trombocytopenia, neutropenia i leukopenia (zazwyczaj stopnia 3.-4.).

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

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

Konkurencyjność cenowa

Koszt 3 miesięcy terapii oszacowany na podstawie limitu finansowania z aktualnego obwieszczenia jest relatywnie niski i wynosi 9 950,85 zł brutto. Koszt zgodny z wnioskiem wynosi [REDAKTOWANE]. Podstawę limitu wyznacza obecnie produkt Azacitidine Accord.

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

Prognozowana wielkość populacji docelowej wynosi 84-112 nowo zdiagnozowanych przypadków w ciągu roku. Koszt finansowania ze środków publicznych ocenianej technologii lekowej w ramach RDTL we wnioskowanej populacji przez 3 miesiące terapii wyniesie [REDAKTOWANE] (w wariantcie cenowym według wniosku dołączonego do zlecenia MZ). W wariantcie cenowym na podstawie limitu finansowania ten koszt wyniesie 0,98 (0,84-1,11) mln zł brutto.

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

Zgodnie z odnalezionymi wytycznymi, u pacjentów z oporną/nawrotową AML, w ramach stosowania terapii hipometylującej, wskazane są azacytydyna oraz decytabina. Na tej podstawie uznano, że komparatorem dla wnioskowanej terapii może być stosowanie decytabiny, która wg uzyskanych informacji, nie jest dostępna w Europie.

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 późn. zm.), opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych nr: OT.412.10.2021 „Vidaza (azacytydyna) we wskazaniu ostrobiałaczka szpikowa z nadekspresją genu BAALC i trisomią 13 – stan po allotransplantacji komórek krwiotwórczych (ICD-10: C92.0)”. Data ukończenia: 03.03.2021 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone kolorem czarnym stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców Celgene Europe B.V..

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Celgene Europe B.V. 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: Celgene Europe B.V.