



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 64/2021 z dnia 31 maja 2021 roku

w sprawie oceny leku Xospata (gilteritinibi fumaras) w ramach programu lekowego: „Leczenie nawrotowej lub opornej ostrej białaczki szpikowej gilteritynibem (ICD-10 C92.0)”

*Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Xospata (gilteritinibi fumaras), tabletki powlekane, 40 mg, 84 tabl., kod EAN: 05909991426460 w ramach programu lekowego: „Leczenie nawrotowej lub opornej ostrej białaczki szpikowej gilteritynibem (ICD-10 C92.0)”.*

#### Uzasadnienie

##### Problem decyzyjny

*Ostra białaczka mieloblastyczna „szpikowa” jest chorobą o bardzo złym rokowaniu. W pierwszej linii leczenia stosowana jest intensywna chemioterapia i optymalnie przeszczep komórek macierzystych. Nie ma dotychczas skutecznego leczenia nawrotowej lub opornej ostrej białaczki szpikowej.*

##### Dowody naukowe

*Pochodzą głównie z badania RCT ADMIRAL, w którym wykazano, że leczenie gilteritynibem prowadziło do istotnego statystycznie wydłużenia całkowitego czasu przeżycia (OS)-mediana OS wyniosła odpowiednio 9,3 m-ca dla gilteritynibu i 5,6 m-ca dla grupy kontrolnej. Ponadto, w grupie leczonej gilteritynibem wskaźnik remisji całkowitej osiągnięto u 21,1% pacjentów, natomiast w grupie kontrolnej u 10,5% pacjentów. Całkowitą remisję z częściową regeneracją hematopoezy w grupie gilteritynibu osiągnęło 13% pacjentów, natomiast w grupie kontrolnej 4,8 % pacjentów. W populacji pacjentów z nawrotem choroby po allo-HSCT, który wystąpił w okresie do 6 miesięcy po zabiegu odnotowano również istotną statystycznie różnicę między grupami pod względem OS na korzyść grupy badanej*

##### Problem ekonomiczny

*Terapia [redacted]. ICUR z RSS wynosi [redacted].*

*Przy finansowaniu wnioskowanej technologii wydatki płatnika publicznego na sam lek [redacted] w pierwszym roku o [redacted], a w drugim o [redacted].*



### Główne argumenty decyzji

- [redacted];
- *Znaczny koszt terapii* [redacted].

### **Tryb wydania stanowiska**

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 523), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2020 r., poz. 1398), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OT.4231.11.2021 „Wniosek o objęcie refundacją leku Xospata (gilterytynib) w ramach programu lekowego: »Leczenie nawrotowej lub odpornej ostrej białaczki szpikowej gilterytynibem (ICD-10 C92.0)“«”; data ukończenia: 19.05.2021 r.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Astellas Pharma sp. z o.o.).

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem (Astellas Pharma sp. z o.o.) 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:** (Astellas Pharma sp. z o.o.).