



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 105/2021 z dnia 23 sierpnia 2021 roku
w sprawie oceny leku Sylvant (siltuksymab) w ramach programu
lekowego „Leczenie idiopatycznej wieloogniskowej choroby
Castlemana (ICD-10 D47.Z2)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktów leczniczych:

- Sylvant, siltuksymab, proszek do sporządzania koncentratu roztworu do infuzji, 100 mg, 1 fiol. 8 ml, kod GTIN: 05060146292276,
- Sylvant, siltuksymab, proszek do sporządzania koncentratu roztworu do infuzji, 400 mg, 1 fiol. 30 ml, kod GTIN: 05060146292481,

w ramach programu lekowego „Leczenie idiopatycznej wieloogniskowej choroby Castlemana (ICD-10 D47.Z2)”, w ramach nowej grupy limitowej i wydawanie ich bezpłatnie, pod warunkiem [redacted]

Rada nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Choroba Castlemana (CD) jest rzadkim zaburzeniem układu limfatycznego, w którym komórki w węzłach chłonnych zaczynają rosnąć nieprawidłowo, powodując powstawanie łagodnych guzów. Objawy mogą obejmować zmęczenie, pocenie się w nocy, gorączkę, neuropatię obwodową oraz obrzęk wątroby i śledziona. Etiopatogeneza choroby jest niejasna.

Choroba dotyczy w równym stopniu kobiet i mężczyzn, w Polsce zapadalność ocenia się na kilkanaście osób rocznie. Brak jest aktualnie skutecznej refundowanej terapii.

Dowody naukowe

W badaniu MCD2001 uzyskano następujące wyniki: 18 pacjentów w grupie siltuksymabu oraz 0 pacjentów w grupie placebo – stwierdzono istotnie statystycznie większą szansę osiągnięcia trwałej odpowiedzi na leczenie ze strony guza oraz objawów w ocenie niezależnej komisji w grupie stosującej siltuksymab (MD=34,0% [95% CI: 11,1 -54,8]; p=0,0012). Mediana czasu trwania odpowiedzi na leczenie ze strony guza oraz objawów w ocenie niezależnej komisji wynosiła



383 dni (232-676) w grupie pacjentów stosujących siltuksymab. 20 pacjentów w grupie siltuksymab oraz 1 pacjent w grupie placebo-stwierdzono istotnie statystycznie większą szansę na osiągnięcie odpowiedzi na leczenie ze strony guza w grupie stosującej siltuksymab (MD= 33,9% [95% CI: 11,1 -54,8]; $p=0,0022$). Odpowiedź na leczenie ze strony guza w ocenie badaczy: 27 pacjentów w grupie siltuksymab oraz 0 pacjentów w grupie placebo - stwierdzono istotnie statystycznie większą szansę na osiągnięcie odpowiedzi na leczenie ze strony guza według badaczy w grupie stosującej siltuksymab (MD = 50,9% [95% CI: 29,2 -70,1]; $p<0,0001$). Trwała objawowa odpowiedź na leczenie: 30 pacjentów w grupie siltuksymab oraz 5 pacjentów w grupie placebo-stwierdzono istotnie statystycznie większą szansę na osiągnięcie trwałej objawowej odpowiedzi na leczenie w grupie stosującej siltuksymab (MD = 37,4% [95% CI: 14,9 -58,2]; $p=0,0018$). Mediana czasu do wystąpienia trwałej objawowej odpowiedzi na leczenie wyniosła 170 dni (67 -274) w grupie badanej, natomiast w grupie kontrolnej mediana nie została osiągnięta NE (227-NE) (HR=2,774; [95% CI: 1,068 -7,206]; $p=0,0288$). Mediana czasu do wystąpienie niepowodzenia leczenia nie została osiągnięta w grupie badanej NE (378 -NE), natomiast w grupie kontrolnej wyniosła 134 (85 -NE)(HR=0,418; [95% CI: 0,214; 0,815]; $p=0,0084$). Wskaźnik przeżycia 6-letniego wyniósł 86,3 [95% CI: 71,9; 93,6] w grupie stosujący siltuksymab oraz 79,5 [95% CI: 57,5; 91,0] w grupie placebo. Stosowanie siltuksymabu w porównaniu do placebo wiązało się z istotną statystycznie poprawą jakości życia pacjentów w kontekście ograniczenia w pełnieniu ról z powodu zdrowia fizycznego ($p=0,005$), dolegliwości bólowych ($p=0,016$), witalności ($p=0,003$), ograniczenia w pełnieniu ról wynikające z problemów emocjonalnych ($p<0,001$), poczucia zdrowia psychicznego ($p=0,010$).

Do najczęściej występujących zdarzeń niepożądanych (>5%) o ≥ 3 stopniu nasileniu w grupie badanej zaliczono zmęczenie (9%) oraz nocne pocenie (8%). Porównanie bezpieczeństwa stosowania siltuksymabu względem placebo wykazało brak istotnie statystycznych różnic pomiędzy grupami.

Wydano dwie rekomendacje refundacyjne pozytywne (G-BA 2014 i HAS 2020) oraz jedną rekomendację pozytywną warunkowo (CADTH 2015) - warunkiem refundacji było osiągnięcie efektywności kosztowej na akceptowalnym poziomie.

Problem ekonomiczny



Główne argumenty decyzji

1. *Brak alternatywnej skutecznej terapii.*
2. *Dowody naukowe wskazują na skuteczność i bezpieczeństwo stosowania we wnioskowanym wskazaniu.*
3. *Wnioskowana terapia,* [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 2021 r., poz. 1285 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OT.4231.31.2021 „Wnioski o objęcie refundacją leków Sylvant (siltuksymab) we wskazaniu: w ramach programu lekowego »Leczenie idiopatycznej wieloogniskowej choroby Castlemana (ICD-10 D47.Z2)«”. Data ukończenia: 05.08.2021 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy EUSA Pharma (Netherlands) B.V.

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem EUSA Pharma (Netherlands) 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: EUSA Pharma (Netherlands) B.V.