



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 8/2022 z dnia 17 stycznia 2022 roku

w sprawie oceny leku Inrebic (fedratinibum) w ramach programu lekowego „Leczenie mielofibrozy pierwotnej oraz mielofibrozy wtórnej w przebiegu czerwienicy prawdziwej i nadpłytkowości samoistnej (ICD-10 D47.1)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Inrebic (fedratinibum), kapsułki twarde, 100 mg, 120 kaps., kod GTIN 07640133688596, w ramach programu lekowego „Leczenie mielofibrozy pierwotnej oraz mielofibrozy wtórnej w przebiegu czerwienicy prawdziwej i nadpłytkowości samoistnej (ICD-10 D47.1)”, w ramach nowej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie.

Rada Przejrzystości uważa za zasadne wprowadzenie mechanizmu dzielenia ryzyka polegającego na umowie limitującej wydatki płatnika, w taki sposób aby wprowadzenie leku w I linii leczenia nie powodowało jego dodatkowego obciążenia. Rada uznaje za zasadne ograniczenia zastosowania fedratynibu wyłącznie do grupy chorych nietolerujących lub opornych na ruksolitynib.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Zarejestrowane wskazanie do stosowania produktu leczniczego Inrebic to leczenie powiększenia śledziony związanego z chorobą lub objawów występujących u dorosłych pacjentów z pierwotnym włóknieniem szpiku (znanym także jako przewlekłe idiopatyczne włóknienie szpiku), włóknieniem szpiku poprzedzonym czerwienicą prawdziwą lub włóknieniem szpiku poprzedzonym nadpłytkowością samoistną u pacjentów, którzy nie byli wcześniej leczeni inhibitorem kinazy janusowej (ang. Janus Associated Kinase), JAK lub byli leczeni ruksolitynibem. Treść proponowanego programu lekowego zawęża wskazanie leku Inrebic do pacjentów z grupy ryzyka pośredniego – 2, albo wysokiego wg IPSS (ang. International Prognostic Scoring System) dla pacjentów z noworozpoznaną mielofibrozą w przebiegu czerwienicy prawdziwej (PMF) lub wg DIPSS (Dynamic International Prognostic Scoring System).



Produkt leczniczy Inrebic nie był dotychczas przedmiotem oceny w AOTMiT. W aktualnie wnioskowanym wskazaniu (leczenie mielofibrozy pierwotnej oraz mielofibrozy wtórnej w przebiegu czerwienicy prawdziwej i nadpłytkowości samoistnej) oceniano natomiast dwukrotnie wniosek refundacyjny dla leku Jakavi (ruksolitynib) – raporty nr AOTM-RK-4351-2/2014 i OT.4351.22.2016. W obu przypadkach, zarówno rekomendacje Prezesa jak i stanowiska Rady Przejrzystości były pozytywne pod warunkiem takiego dostosowania kosztów leczenia, aby osiągnąć próg efektywności kosztowej. Ruksolitynib jest refundowany od 1 stycznia 2017 roku w ramach programu lekowego B.81. Leczenie mielofibrozy pierwotnej oraz mielofibrozy wtórnej w przebiegu czerwienicy prawdziwej i nadpłytkowości samoistnej (ICD-10 D47.1), przy czym podobnie jak we wnioskowanym programie, populacja zawężona jest do pacjentów z grupy ryzyka pośredniego – 2 lub wysokiego wg IPSS, z występującą splenomegalią i bez wcześniejszej splenektomii.

Dowody naukowe

Dowody naukowe pochodzące z badań randomizowanych potwierdzają skuteczność fedratynibu w porównaniu z placebo w odniesieniu do zmniejszenia objętości śledziony i nasilenia objawów. Brak jest natomiast badań randomizowanych porównujących bezpośrednio fedratynib z ruksolitynibem "najlepszą dostępną terapią" - porównania pośrednie, obarczone dużą niepewnością, nie wykazały różnic w skuteczności fedratynibu i ruksolitynibu. Brak jest dowodów pochodzących z randomizowanych badań klinicznych na poprawę przeżycia całkowitego u chorych leczonych fedratynibem. Brak jest randomizowanych badań klinicznych pozwalających na ocenę skuteczności fedratynibu w II linii leczenia, w porównaniu z najlepszą dostępną terapią.

Międzynarodowe wytyczne zalecają leczenie fedratynibem w I linii leczenia, zwłaszcza jeżeli u pacjentów występuje splenomegalia/objawy ogólne mielofibrozy, gdzie fedratynib może stanowić alternatywę dla ruksolitynibu. W II linii leczenia, fedratynib wymieniany jest przez wytyczne w przypadku braku odpowiedzi, jej utraty lub nietolerancji na leczenie ruksolitynibem.

Problem ekonomiczny

W przypadku pozytywnej decyzji refundacyjnej dla leku Inrebic w ramach wnioskowanego programu lekowego, [REDAKTOWANE]. Analizy farmakoekonomiczne obarczone są dużą niepewnością, między innymi z powodu przyjętego założenia o odmiennej skuteczności ruksolitynibu i fedratynibu, przy braku bezpośrednich porównań. Rekomendacje refundacyjne innych agencji miały charakter warunkowy (warunek ekonomiczny) lub negatywny (ze względu na brak dostatecznych dowodów naukowych na dodatkowe korzyści płynące ze stosowania fedratynibu).

Główne argumenty decyzji

Bardzo ograniczonej jakości dowody naukowe i wytyczne towarzystw naukowych wskazują na prawdopodobnie porównywalną skuteczność fedratynibu w porównaniu z ruksolitynibem. Zasadna wydaje się refundacja leku, w przypadkach, w których ruksolitynib nie zaspokaja potrzeby klinicznej (nietolerancja bądź nieskuteczność). Koszty leczenia fedratynibem nie powinny być wyższe od kosztów leczenia ruksolitynibem.

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.4231.56.2021 „Wniosek o objęcie refundacją leku Inrebic (fedratynib) w ramach programu lekowego: »Leczenie mielofibrozy pierwotnej oraz mielofibrozy wtórnej w przebiegu czerwienicy prawdziwej i nadpłytkowości samoistnej (ICD 10: D47.1)«”. Data ukończenia: 5 stycznia 2022 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinie eksperta i przedstawiciela pacjentów przedstawione w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy Bristol-Myers Squibb Polska Sp. z o.o.

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Bristol-Myers Squibb Polska 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: Bristol-Myers Squibb Polska Sp. z o.o.