



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 68/2022 z dnia 1 sierpnia 2022 roku
w sprawie oceny leku Onureg (azacitidine)
w ramach programu lekowego: „Leczenie chorych
na ostrą białaczkę szpikową (ICD-10 C92.0)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktów leczniczych:

- Onureg, Azacitidine, Tabletki powlekane, 300 mg, 7, tabl., kod GTIN: 07640133688442,
- Onureg, Azacitidine, Tabletki powlekane, 200 mg, 7, tabl., kod GTIN: 07640133688435,

w ramach programu lekowego: B.114 „Leczenie chorych na ostrą białaczkę szpikową (ICD-10 C92.0)”, w ramach nowej grupy limitowej i wydawanie ich bezpłatnie, pod warunkiem zdecydowanego pogłębienia instrumentów dzielenia ryzyka.

Rada nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Do niedawna znaczenie standardowego leczenia podtrzymującego u chorych na ostrą białaczkę szpikową poddanych intensywnej terapii konsolidującej uznawano za kontrowersyjne (polskie wytyczne praktyki klinicznej PTOK 2020).

Sytuację zmieniły wyniki zastosowania doustnej azacytydyny jako terapii podtrzymującej w pierwszej remisji u pacjentów z ostrą białaczką szpikową opublikowane w NEJM w grudniu 2020 r. (wyniki próby klinicznej QUAZAR AML-001).

Problem decyzyjny sprowadza się do pytania, czy należy finansować ze środków publicznych włączenie azacytydyny (lek Onureg) do programu lekowego leczenia ostrej białaczki szpikowej.

Dowody naukowe

W badaniu QUAZAR AML-001 u 472 pacjentów w wieku 55 do 86 lat życia, przy medianie obserwacji 41,2 miesiąca, mediana przeżycia w grupie placebo wyniosła 14,8 miesiąca (95% CI, 11,7-17,6), a w grupie otrzymującej 300mg azacytydyny 24,7 miesiąca (95% CI, 18,7 - 30,5), a zatem różnica wyniosła



9,9 miesiąca. Przy tym krzywe Kaplana-Meiera wykazują brak proporcjonalności hazardów, gdyż po początkowym rozejściu zaczynają się zbiegać w późniejszych punktach czasowych.

Problem ekonomiczny

Koszty leku Onureg podane przez wnioskodawcę są bardzo wysokie. Obliczony przez niego współczynnik kosztów użyteczności zdrowotnej znacznie przekracza próg ustawowy i jest nieakceptowalny.

Przyjęte założenia w analizie ekonomicznej wnioskodawca stara się ukryć przed opinią publiczną poprzez zakreślenia w materiałach publikowanych. Zwiększa to niepewność co do zgodności kosztów, które miałby ponosić płatnik publiczny z kosztami wyliczonymi w analizie wnioskodawcy.

Główne argumenty decyzji

Koszty uzyskania efektu zdrowotnego przekraczają przyjęty próg ustawowy. Istnieje niepewność czy w rzeczywistości nie byłyby jeszcze wyższe.

Uwaga Rady

Populacja przyjęta we wniosku refundacyjnym obejmuje pacjentów w wieku ≥ 18 r.ż., natomiast wyniki badania QUAZAR AML-001 dotyczyły pacjentów w wieku ≥ 55 r.ż.

W przypadku objęcia refundacją tej terapii należy monitorować jej skuteczność (czas do progresji choroby oraz przeżycie) w rzeczywistej praktyce klinicznej.

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 2022 r., poz. 463), 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.4231.27.2022 „Wniosek o objęcie refundacją leku Onureg (azacytydyna doustna) we wskazaniu: Leczenie chorych na ostrą białaczkę szpikową (ICD-10 C92.0)”. Data ukończenia: 21 lipca 2022 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

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