



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 76/2022 z dnia 16 sierpnia 2022 roku
w sprawie oceny leku Empliciti (elotuzumab)
w ramach programu lekowego: „Leczenie chorych
na szpiczaka plazmocytozowego (ICD-10: C90.0)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktów leczniczych:

- *Empliciti, elotuzumab, proszek do sporządzania koncentratu roztworu do infuzji, 400 mg, 1 fiol. proszku, kod GTIN: 08027950032198,*
- *Empliciti, elotuzumab, proszek do sporządzania koncentratu roztworu do infuzji, 300 mg, 1 fiol. proszku, kod GTIN: 08027950032181*

w ramach programu lekowego: „Leczenie chorych na szpiczaka plazmocytozowego (ICD-10: C90.0)”, w ramach nowej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie pod warunkiem obniżenia ceny leku lub [REDACTED].

Rada nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Szpiczak plazmocytozowy jest nowotworem wywodzącym się z komórek B w końcowym etapie różnicowania, stanowi ok. 1% wszystkich nowotworów złośliwych (ok. 14% nowotworów układu krwiotwórczego), ze szczytem zachorowań w 7. dekadzie życia. W Polsce wg danych KRN w 2017 r. odnotowano 1407 zgonów z powodu tej choroby. Szpiczak mnogi pozostaje nieuleczalną chorobą, w której ok. 1/3 pacjentów nie odpowiada na I linię leczenia.

W chwili obecnej refundowanych jest kilka innych schematów leczenia w ramach programów lekowych. Wnioskodawca jako technologię alternatywną dla schematu EPd (elotuzumabu w skojarzeniu z pomalidomidem i deksametazonem) wskazał schemat Pd (pomalidomid w skojarzeniu z deksametazonem) oraz jako komparatory dodatkowe schematy: Kd (karfilzomib w skojarzeniu z deksametazonem), DVd (daratumumab w skojarzeniu z bortezomibem i deksametazonem).

Dowody naukowe

Do analizy klinicznej włączono badanie ELOQUENT-3, w którym porównano skuteczność i bezpieczeństwo stosowania schematu EPd z Pd, u pacjentów



z opornym lub opornym i nawrotowym szpiczakiem plazmocytowym, którzy otrzymali co najmniej dwa wcześniejsze schematy leczenia (w tym lenalidomid i inhibitor proteasomu) oraz byli oporni na ostatnią terapię. Nie odnaleziono natomiast badań bezpośrednio porównujących lub umożliwiających porównanie pośrednie EPd z Kd i DVd (przedstawiono jedynie zestawienie wyników dla ramienia EPd z badania ELOQUENT-3 oraz dla schematów Kd i DVd odpowiednio z badań ARROW i CASTOR).

Wyniki wykazały istotne statystycznie różnice na korzyść schematu EPd w porównaniu z Pd w zakresie mediany przeżycia całkowitego (29,8 mies. (95% CI: 22,9; 45,7) dla schematu EPd vs. 17,4 mies. (95% CI: 13,8; 27,7) dla Pd), przeżycia wolnego od progresji choroby (dane dla minimalnego okresu obserwacji 9,1 mies: mediana PFS wyniosła odpowiednio 10,3 mies. (95% CI: 5,6; n/o) vs. 4,7 mies. (95% CI: 2,8; 7,2)), ogólnej odpowiedzi na leczenie (istotnie statystycznie częściej w grupie EPd vs. Pd, zarówno w ocenie badacza (53% vs. 26%), jak i dokonanej przez niezależny komitet oceniający (58% vs. 25%)). W pozostałych ocenionych punktach końcowych dot. poszczególnych rodzajów odpowiedzi, stabilizacji choroby i progresji choroby nie odnotowano IS różnic między grupami. Nie stwierdzono także IS różnic między grupami w czasie do wystąpienia pierwszego pogorszenia stanu zdrowia, w zakresie jakości życia ocenianej wg kwestionariusza EQ-5D-3L UI i VAS oraz ocenie ryzyka pogorszenia nasilenia objawów choroby w skali MDASI-MM.

W odniesieniu do pozostałych komparatorów (Kd i DVd), w ramach zestawienia wyników z badań: ELOQUENT-3, ARROW i CASTOR, można wnioskować, że oceniana technologia nie wydaje się istotnie gorsza od refundowanych komparatorów.

W zakresie analizy bezpieczeństwa w badaniu ELOQUENT-3 wykazano brak IS różnic między grupami EPd i Pd w ocenie częstości występowania zgonów i innych zdarzeń niepożądanych.

Problem ekonomiczny

Analiza wpływu na budżet wskazuje na istotny prognozowany wzrost wydatków płatnika publicznego, natomiast analiza efektywności kosztowej wskazuje, że stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych jest mniej korzystny niż w przypadku komparatorów.

W analizie kosztów-użyteczności zastosowanie schematu EPd w miejsce schematu Pd wydaje się [redacted]. Oszacowany ICUR jest jednak [redacted].

W analizie minimalizacji kosztów, koszt stosowania schematu EPd w miejsce obecnie refundowanego schematu Kd i DVd jest [redacted] i jedynie wyraźne

obniżenie ceny leku [REDAKTOWANE]

Odnaleziono 2 pozytywne rekomendacje niemieckie (G-BA 2021 oraz IQWiG 2019/2020), w których wskazano, że zastosowanie schematu EPd w porównaniu ze schematem Pd (pomalidomid, deksametazon) wiąże się z uzyskaniem dodatkowej korzyści zdrowotnej. Niemniej IQWiG wskazuje na niepewność związana z wiarygodnością uzyskanych w ramach badania ELOQUENT-3 wyników m.in. z uwagi na otwarty charakter badania i z tego względu dodatkową korzyść zdrowotną uzyskaną w ramach leczenia schematem EPd w porównaniu ze schematem Pd określono jako niewielką. Odnaleziono również 1 szkocką negatywną rekomendację (SMC 2021), gdzie ocena wynikała z faktu, że firma nie złożyła wniosku.

Główne argumenty decyzji

Wyniki badań wskazują na korzyści zdrowotne schematu EPd w porównaniu ze schematem Pd, m.in. w zakresie mediany przeżycia całkowitego i przeżycia wolnego od progresji choroby, a zestawienie wyników z komparatorami pozwala pośrednio wnioskować, że oceniana technologia nie jest od nich gorsza. Należy jednak obniżyć cenę leku [REDAKTOWANE].

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: 4231.28.2022 „Wniosek o objęcie refundacją leku Empliciti (elotuzumab) w ramach programu lekowego: »Leczenie chorych na szpiczaka plazmocytozowego (ICD-10: C90.0)«”. Data ukończenia: 3.08.2022 r.

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.).