



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezisie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 67/2022 z dnia 18 lipca 2022 roku

w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku Rezurock (belumosudil) we wskazaniu: leczenie pacjentów dorosłych i dzieci w wieku 12 lat i starszych z przewlekłą chorobą przeszczep przeciwko gospodarzowi (przewlekła GVHD) po niepowodzeniu co najmniej dwóch wcześniejszych linii leczenia ogólnoustrojowego

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację (w ramach importu docelowego) produktu leczniczego Rezurock (belumosudil), tabletki 200 mg, we wskazaniu: leczenie pacjentów dorosłych i dzieci w wieku 12 lat i starszych z przewlekłą chorobą przeszczep przeciwko gospodarzowi (przewlekła GVHD) po niepowodzeniu co najmniej dwóch wcześniejszych linii leczenia ogólnoustrojowego.*

#### Uzasadnienie

##### Problem decyzyjny

*Choroba przeszczep przeciwko gospodarzowi (GVHD, ang. graft versus host disease) jest zaburzeniem ogólnoustrojowym, mogącym stanowić zagrożenie życia. Lek nie jest zarejestrowany przez Europejską Agencję Leków i nie jest obecnie dopuszczony do obrotu na terenie Unii Europejskiej. Wskazanie zarejestrowane przez FDA to leczenie pacjentów dorosłych i dzieci w wieku 12 lat i starszych, z przewlekłą chorobą przeszczep przeciwko gospodarzowi (przewlekła GVHD) po niepowodzeniu co najmniej dwóch wcześniejszych linii leczenia systemowego. Rezurock nie był wcześniej oceniany przez Agencję.*

##### Dowody naukowe

*Najwyżej umiarkowanej jakości dowody naukowe obejmują otwarte badanie kliniczne KD025-208 (NCT02841995) fazy 2a, bez randomizacji - oceniające bezpieczeństwo, tolerancję i aktywność belumosudilu oraz badanie kliniczne ROCKstar (KD025-213, NCT03640481) fazy 2, z randomizacją, otwarte - mające na celu ocenę skuteczności i bezpieczeństwa stosowania belumosudilu, u pacjentów  $\geq 12$  r.ż. z cGVHD, którzy otrzymali od 2 do 5 uprzednich linii leczenia systemowego. Badania obejmują porównanie stosowania różnych dawek belumosudilu, nie uwzględniając grup kontrolnych. Wyniki obu badań potwierdzają skuteczność leku, ale bezpośrednie porównanie skuteczności*



*i bezpieczeństwa belumosudilu z innymi terapiami stosowanymi w leczeniu przewlekłej choroby przeszczep przeciwko gospodarzowi nie jest możliwe.*

*Problem ekonomiczny*

*Nie zidentyfikowano żadnych rekomendacji dotyczących finansowania ze środków publicznych belumosudilu w innych krajach. Koszt miesięcznej terapii belumosudilem szacowany jest na około 76 tys. PLN. Zgodnie z opinią Konsultanta Krajowego w dziedzinie onkologii i hematologii obecnie w Polsce jest 50 pacjentów dorosłych i dzieci w wieku 12 lat z przewlekłą chorobą przeszczep przeciwko gospodarzowi (cGVHD), z czego 20 pacjentów po niepowodzeniu co najmniej dwóch wcześniejszych linii leczenia ogólnoustrojowego. Liczba nowych zachorowań została w ciągu roku w Polsce została oszacowana na 40 osób. Odsetek osób, u których oceniana technologia byłaby stosowana po objęciu jej refundacją w ramach importu docelowego został określony jako 10% (oszacowania własne Eksperta). Uwzględniając populację docelową wskazaną przez Konsultanta Krajowego, w której oceniana technologia byłaby stosowana po objęciu jej refundacją w ramach importu docelowego, roczny koszt objęcia pacjentów z populacji docelowej leczeniem za pomocą belumosudilu został oszacowany na około 1,5 mln PLN.*

*Główne argumenty decyzji*

*Wyniki obu badań potwierdzają skuteczność leku we wnioskowanym wskazaniu.*

**Tryb wydania stanowiska**

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust. 2 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 1285 z późn. zm.) oraz w zw. z art. 39 ust. 3 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2022 r., poz. 463), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności wydawania zgód na refundację (import docelowy) nr: WS.4211.1.2022 „Rezurock (belumosudil) we wskazaniu: leczenie pacjentów dorosłych i dzieci w wieku 12 lat i starszych z przewlekłą chorobą przeszczep przeciwko gospodarzowi (przewlekła GVHD) po niepowodzeniu co najmniej dwóch wcześniejszych linii leczenia ogólnoustrojowego”. Data ukończenia: 2022-07-15.