



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 3/2024 z dnia 15 stycznia 2024 roku
w sprawie oceny leku Tecvayli (teklistamab) w ramach programu
lekowego: „Leczenie chorych na szpiczaka plazmocytoowego
(ICD 10: C90.0)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktów leczniczych:

- *Tecvayli (teklistamab), roztwór do wstrzykiwań, 90 mg/ml, 1 fiolka 1,7 ml, kod GTIN: 05413868121582,*
- *Tecvayli (teklistamab), roztwór do wstrzykiwań, 10 mg/ml, 1 fiolka 3 ml, kod GTIN:05413868121575,*

w ramach programu lekowego: „Leczenie chorych na szpiczaka plazmocytoowego (ICD 10: C90.0)”, w ramach nowej grupy limitowej i wydawanie ich bezpłatnie.

Zdaniem Rady Przejrzystości zaproponowany instrument dzielenia ryzyka jest niezadowolający i powinien być pogłębiony do poziomu zapewniającego efektywność kosztową leczenia.

Rada zgłasza następujące uwagi do projektu programu lekowego:

w projekcie programu lekowego B.54. nie został uwzględniony schemat IsaPd, który jest dostępny od 1.07.2023 r. Zasadna jest aktualizacja zapisów uwzględniająca ten schemat.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Minister Zdrowia zlecił przygotowanie analizy weryfikacyjnej AOTMiT, stanowiska Rady Przejrzystości oraz rekomendacji Prezesa AOTMiT na zasadzie art. 35 ust. 1 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia oraz wyrobów medycznych w przedmiocie objęcia refundacją produktu leczniczego:

- *Tecvayli (teklistamab), roztwór do wstrzykiwań, 90 mg/ml, 1 fiolka 1,7 ml, kod GTIN: 05413868121582,*
- *Tecvayli (teklistamab), roztwór do wstrzykiwań, 10 mg/ml, 1 fiolka 3 ml, kod GTIN:05413868121575*

Zgodnie z zapisami proponowanego programu lekowego teklistamab ma być stosowany w leczeniu dorosłych pacjentów z nawrotowym i opornym na leczenie

szpiczakiem mnogim, którzy otrzymali co najmniej trzy wcześniejsze terapie, w tym lek immunomodulujący, inhibitor proteasomu i przeciwciało anti-CD38, i u których stwierdzono progresję choroby w trakcie ostatniej terapii.

Dowody naukowe

Dostępne dowody naukowe dotyczące bezpieczeństwa i skuteczności stosowania teklistamabu w omawianym wskazaniu mają istotne ograniczenia. Nie odnaleziono, bowiem, badań z grupą kontrolą leczoną standardowo. Wyniki badania bez grupy kontrolnej (MajesTEC-1, mediana obserwacji 23 mies.) wykazały, że leczenie teklistamab wiązało się z:

- uzyskaniem ogólnej odpowiedzi na leczenie u 63% pacjentów, która u ponad 45% pacjentów miała postać co najmniej całkowitej odpowiedzi,
- długotrwałym czasem trwania odpowiedzi na leczenie (mediana 21,6 mies.),
- uzyskaniem mediany przeżycia wolnego od progresji choroby wynoszącej 12,5 miesiąca,
- mediany przeżycia całkowitego wynoszącej 21,9 miesiąca.

Ponadto, wyniki tego badania wykazały istotną klinicznie średnią poprawę w zakresie polepszenia jakości życia pacjentów ocenianej kwestionariuszem EQ-5D-5L VAS względem wartości początkowej.

Odnaleziono porównania wyników leczenia teklistamabem i leczenia standardowego, tj. schematy: Pd (pomalidomid + deksametazon), PVd (pomalidomid + bortezomib + deksametazon), Ird (iksazomib + lenalidomid + deksametazon), Kd (karfilzomib + deksametazon), KRd (karfilzomib + lenalidomid + deksametazon), IsaPd (izatuksymab + pomalidomid + deksametazon), EloPd (elotuzumab + pomalidomid + deksametazon), DVd (daratumumab + bortezomib + deksametazon), DRd (daratumumab + lenalidomid + deksametazon), Rd (lenalidomid + deksametazon) oraz BP (bendamustyna + prednizon).

Porównania w oparciu o wyniki badania Flatiron zostały opublikowane i wykazały znamiennej statystycznie przewagę teklistamabu nad leczeniem standardowym w zakresie odpowiedzi na leczenie oraz progresji choroby. Niepublikowane porównania w oparciu o badania Mateos 2023 i LocoMMotion wykazały również korzyść w zakresie przeżyć całkowitych.

Odnaleziono także dwa badania obserwacyjne (Firestone 2023, Utervall 2022), które potwierdzają aktywność kliniczną teklistamabu w omawianym wskazaniu. Najczęściej raportowanymi hematologicznymi zdarzeniami niepożądanymi była neutropenia, niedokrwistość, trombocytopenia, limfopenia, leukopenia. Neutropenia w stopniu 3–4 wystąpiła u 65% pacjentów.

Problem ekonomiczny

Analiza ekonomiczna wnioskodawcy wykazała, że (pomimo uwzględnienia proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka) współczynnik ICUR znacząco przekroczył z perspektywy NFZ aktualny próg opłacalności dla technologii lekowych. Wprowadzenie finansowania Tecvayli w analizowanym wskazaniu wiązałoby się ze wzrostem wydatków całkowitych o [REDACTED] w I roku oraz o [REDACTED] w II roku przy uwzględnieniu proponowanego RSS. Analiza ekonomiczna obarczona jest, zarazem, dużą niepewnością ze względu na brak danych klinicznych pozwalających bezpośrednio porównać wnioskowaną technologię z komparatorami. Istnieje także niepewność oszacowania liczebności pacjentów oraz udziałów schematów w związku z dynamicznymi zmianami w refundacji leków stosowanymi w leczeniu szpiczaka mnogiego w Polsce.

Główne argumenty decyzji

Za refundacją:

- Udokumentowana aktywność kliniczna teklistamabu w omawianym wskazaniu, której miarą jest stosunkowo wysoki odsetek odpowiedzi na leczenie.

Za pogłębieniem instrumentu dzielenia ryzyka:

- Niezadawalająca efektywność kosztowa leczenia teklistamabem, pomimo uwzględnienia proponowanego RSS.
- Niepewność oszacowań ekonomicznych wynikająca z ograniczeń jakościowych dostępnych danych klinicznych oraz z oszacowania liczebności pacjentów.
- Brak danych pozwalających na bezpośrednie porównanie skuteczności i bezpieczeństwa stosowania teklistamabu; porównania pośrednie wskazują, zarazem, na korzyści kliniczne ze stosowania teklistamabu.

Dodatkowe uwagi Rady

Odnosząc się do prośby o ocenę, czy wymienione wskaźniki skuteczności terapii w części monitorowanie programu lekowego B.54 (z dołączoną wnioskowaną terapią) są wystarczające dla oceny skuteczności terapii refundowanych w ramach tego programu Rada uważa, że wskaźniki te są wystarczające.

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 2023 r., poz. 2555 z poz. 826), 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 2022 r., poz. 2561 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr:

OT.423.1.34.2023 „Wniosek o objęcie refundacją leku Tecvayli (teklistamab) w ramach programu lekowego: »Leczenie chorych na szpiczaka plazmocytoowego (ICD-10: C90.0)«”; data ukończenia: 3 stycznia 2024 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia eksperta przedstawiona w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Janssen - Cilag Polska Sp. z o.o.).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Janssen - Cilag 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 2022 r., poz. 902) w zw. z art. 11 ust. 2 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2022 r., poz. 1233).

Organ dokonujący wyłączenia jawności: Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji.

Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Janssen - Cilag Polska Sp. z o.o.