



Opinia Rady Przejrzystości

nr 183/2024 z dnia 25 listopada 2024 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną pomalidomidum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego tj. szpiczak plazmocytowy (ICD-10: C90.0)

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną pomalidomidum, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego tj. szpiczak plazmocytowy (ICD- 10: C90.0) w przypadku:

- leczenia w skojarzeniu z cyklofosfamidem i deksametazonem dorosłych pacjentów ze szpiczakiem plazmocytowym, u których stosowano uprzednio co najmniej jedną linię leczenia, w tym zawierającą lenalidomid,*
 - leczenia w skojarzeniu z deksametazonem dorosłych pacjentów ze szpiczakiem plazmocytowym, u których stosowano uprzednio co najmniej jedną linię leczenia, w tym zawierającą lenalidomid,*
- w ramach katalogu chemioterapii we wskazaniu określonym stanem klinicznym.*

Niniejsza opinia Rady Przejrzystości dotyczy oceny proponowanych wskazań pozarejestacyjnych dla pomalidomidu (off-label). Odrębna opinia Rady dotyczy stosowania pomalidomidu we wskazaniach zarejestrowanych (on-label) oraz zmiany kategorii refundacyjnej z programu lekowego do katalogu chemioterapii. Propozycja Ministra Zdrowia obejmuje wyłączenie pomalidomidu z aktualnego programu lekowego B.54. i stworzenie dwóch załączników zawierających wskazania refundacyjne dla tej substancji. Pierwszy załącznik (C.XX.a., on-label) zawiera wskazania zarejestrowane dla pomalidomidu, a drugi (C.XX.b., off-label) wskazania pozarejestacyjne.

Proponowany „Załącznik C.XX.b (off-label)” odnosi się do stosowania pomalidomidu w szpiczaku plazmocytowym (ICD 10: C90.0) w przypadku:

- leczenia w skojarzeniu z cyklofosfamidem i deksametazonem dorosłych pacjentów ze szpiczakiem plazmocytowym, u których stosowano uprzednio co najmniej jedną linię leczenia, w tym zawierającą lenalidomid;*

- leczenia w skojarzeniu z deksametazonem dorosłych pacjentów ze szpiczakiem plazmocytowym, u których stosowano uprzednio co najmniej jedną linię leczenia, w tym zawierającą lenalidomid.

Proponowane wskazanie rozszerza możliwość stosowania pomalidomidu w skojarzeniu z deksametazonem na chorych po niepowodzeniu jednej linii leczenia (aktualnie refundowany po niepowodzeniu dwóch linii leczenia) oraz na stosowanie ww. schematu z dołączonym cyklofosfamidem w ramach terapii trójlekowej (PCd). Skutkiem będzie rozszerzenie opcji terapeutycznych w drugiej linii leczenia (schemat Pd) oraz wszystkich kolejnych liniach (dla schematu PCd). W opinii Konsultanta Krajowego w dziedzinie hematologii, szacowana wielkość populacji dla schematu Pd wyniesie ok. 50 chorych rocznie, a dla schematu PCd ok. 50-70 chorych rocznie (głównie chorzy, którzy z powodu polineuropatii nie mogą otrzymać schematów z bortezomibem we wcześniejszych liniach leczenia).

W wyniku przeprowadzonego przeglądu dla populacji Pd (druga linia) odnaleziono randomizowane badanie APOLLO (Dimopoulos 2021), natomiast dla populacji PCd odnaleziono siedem opracowań: badanie fazy II Baz 2016, badanie fazy III Chng 2020 (zawierające jedynie dane dotyczące bezpieczeństwa), badanie fazy II Garderet 2018, badanie RWD Rodriguez-Otero 2021, badanie fazy II Soekojo 2019, badanie fazy III Song 2023 oraz badanie fazy II Weisel 2019. Pozytywne wyniki tych badań (w większości II fazy, na małych populacjach pacjentów) powinny być traktowane ostrożnie jako dowody niskiej jakości, tym niemniej mogą stanowić podstawę do rozważenia schematu pomalidomid/cyklofosfamid/deksametazon lub pomalidomid/deksametazon w uzasadnionych przypadkach nawrotowego szpiczaka plazmocyтового opornego na lenalidomid.

W rekomendacjach klinicznych wskazano, że leczenie nawrotowego lub opornego na leczenie szpiczaka mnogiego wymaga indywidualnego podejścia przy umożliwieniu zastosowania różnych schematów leczenia. Oceniana technologia wymieniona jest jako opcja możliwa do zastosowania w pewnych okolicznościach (PGSz 2022/2023, NCCN 2024, MSAG 2022).

Koszt stosowania pomalidomidu w schematach Pd i PCd w ramach katalogu chemioterapii bez obniżenia ceny będzie wiązał się z wzrostem wydatków budżetowych 11,6 (9,3-13,9) mln zł w roku pierwszym, w związku z objęciem refundacją nowej populacji. W przypadku istotnego obniżenia kosztu pomalidomidu (w związku z wejściem do refundacji leków generycznych) po przeniesieniu substancji do refundowanych w katalogu chemioterapii średni koszt roczny będzie wynosił 2,6-7,5 mln zł rocznie.

Oszacowania wpływu na budżet płatnika związane z wprowadzeniem zmian w programie lekowym oraz objęcia refundacją nowych schematów lekowych,

w tym *off-label*, są uwarunkowane szeregiem założeń, w tym: prognozowaną liczbą osób, których dotyczy zmiana, przyjętym oszacowaniem kosztu różniącego stan aktualny i nowy, a także funkcjonującą praktyką lekarską związaną z realizacją programu lekowego (leczenia chemioterapią). W ocenie wpływu na budżet płatnika zwraca uwagę niepewność związana z wielkością populacji docelowej.

Główne argumenty decyzji:

- *opcjonalna technologia zawarta w rekomendacjach klinicznych;*
- *umiarkowany wpływ na wydatki płatnika publicznego.*

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 930 z późn. zm.), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem opracowania nr: OT.422.0.61.2024 „Pomalidomid we wskazaniach: innych niż określone w ChPL”; data ukończenia: 22 listopada 2024 r.