



Opinia Rady Przejrzystości
nr 182/2024 z dnia 25 listopada 2024 roku
w sprawie zmiany kategorii dostępności refundacyjnej produktów
lecniczych z substancją czynną pomalidomid

Rada Przejrzystości uznaje za zasadną zmianę kategorii dostępności refundacyjnej produktów leczniczych, zawierających substancję czynną pomalidomid z programu lekowego B.54. „Leczenie chorych na szpiczaka plazmocytoowego (ICD-10: C90.0)” na katalog chemioterapii wraz z objęciem refundacją produktów leczniczych z substancją czynną pomalidomid w ramach chemioterapii we wskazaniu określonym stanem klinicznym.

Uzasadnienie

Szpiczak mnogi (syn. szpiczak plazmocytowy) to choroba nowotworowa charakteryzująca się niekontrolowaną, wielogniskową proliferacją i gromadzeniem monoclonalnych plazmocytoów w szpiku, wytwarzających monoclonalną immunoglobulinę lub same monoclonalne łańcuchy lekkie immunoglobulin (tzw. białko M) i powodujących uszkodzenia narządowe. Według PTOK 2020, w Polsce stwierdza się ponad 1500 nowych zachorowań rocznie, jednak liczba ta jest prawdopodobnie niedoszacowana. Leczenie umożliwia uzyskanie remisji i wydłużenie przeżycia. Mediana czasu przeżycia chorych z objawową, postępującą postacią choroby wynosi 5-7 lat.

Niniejsza opinia Rady Przejrzystości dotyczy oceny stosowania pomalidomidu we wskazaniach zarejestrowanych (on-label) oraz zmiany kategorii refundacyjnej z programu lekowego do katalogu chemioterapii. Odrębna opinia Rady dotyczy proponowanych wskazań pozarejestacyjnych dla pomalidomidu (off-label).

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.a (on-label)” obejmuje wskazania:

1) leczenie w skojarzeniu z bortezomibem i deksametazonem dorosłych pacjentów ze szpiczakiem plazmocytoowym, u których stosowano uprzednio co najmniej jedną linię leczenia, w tym zawierającą lenalidomid;

2) leczenie w skojarzeniu z deksametazonem dorosłych pacjentów ze szpiczakiem plazmocytowym, u których stosowano uprzednio co najmniej dwie linie leczenia, w tym zawierające lenalidomid i inhibitor proteasomu oraz w trakcie ostatniego leczenia lub po jego zakończeniu nastąpiła progresja choroby* (*dotyczy także leczenia skojarzonego z dodatkową składową refundowaną w ramach programu B.54. ze schematem Pd).

Załącznik C.XX.a. (on-label) zawiera nowe, względem aktualnego Programu Lekowego (PL) wskazanie, tj. „leczenie w skojarzeniu z bortezomibem i deksametazonem dorosłych pacjentów ze szpiczakiem plazmocytowym, u których stosowano uprzednio co najmniej jedną linię leczenia, w tym zawierającą lenalidomid”. Aktualnie PL przewiduje schemat PVd (pomalidomid/bortezomib/deksametazon) u chorych po niepowodzeniu jednej, dwóch lub trzech linii leczenia. Skutkiem powyższej różnicy jest rozszerzenie populacji docelowej poprzez możliwość podania schematu PVd u pacjentów po niepowodzeniu czterech i więcej linii leczenia (aktualnie w drugiej, trzeciej i czwartej). To nowe wskazanie refundacyjne jest jednocześnie wskazaniem zarejestrowanym - Charakterystyki Produktów Leczniczych w tym schemacie nie warunkują maksymalnej linii leczenia. W opinii Konsultanta Krajowego w dziedzinie hematologii, nie będzie to większa populacja niż 40-50 chorych rocznie, którzy potencjalnie dostaliby schemat PVd po czterech wcześniejszych liniach leczenia.

Proponowane wskazanie refundacyjne jest spójne z zarejestrowanym – jedyna różnica zawarta jest w zapisie fragmentu wskazania: „(...) w skojarzeniu z deksametazonem dorosłych pacjentów ze szpiczakiem plazmocytowym, u których stosowano uprzednio co najmniej dwie linie leczenia, w tym zawierające lenalidomid i inhibitor proteasomu (...)”. W ChPL wskazany jest konkretnie bortezomib, a nie ogólnie inhibitor proteasomu. Różnica wynika stąd, że w PL dostępny jest też inny inhibitor proteasomu – karfilzomib (po niepowodzeniu pierwszej, drugiej lub trzeciej linii terapii). Zmiana ta pozwoli stosować pomalidomid u chorych po niepowodzeniu dwóch linii leczenia, którzy równocześnie nie mieli podanego schematu z bortezomibem.

Schemat leczenia Pd (pomalidomid/deksametazon) stosowany jest również z izatuksymabem (Isa) lub elotuzumabem (Elo). Dlatego proponowane zmiany dotyczą nie tylko pomalidomidu, lecz również schematów zawierających ww. leki, które pozostaną w programie lekowym (schematy IsaPd, EloPd). Schemat PVd zostanie w pełni przeniesiony do chemioterapii.

Proponowane wskazania zasadniczo odnoszą się do wskazań w programie lekowym B.54 i były poddane ocenie Agencji i Rady, dlatego odstąpiono od analizy skuteczności klinicznej pomalidomidu w refundowanych wskazaniach. 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 po wcześniejszych 1-3 liniach leczenia oraz po więcej niż 3 liniach leczenia (PGSz 2022/2023, NCCN 2024, MSAG 2022).

Zmiana dostępności refundacyjnej pomalidomidu może umożliwić zastosowanie go u pacjentów, którzy ze względu na kryteria kwalifikacji do programu lekowego nie zostali dotychczas objęci leczeniem.

Oszacowania wpływu na budżet płatnika po wprowadzeniu zmian w programie lekowym (m. in. refundacja PVd po niepowodzeniu 4 linii leczenia, przeniesienie pomalidomidu do katalogu chemioterapii) 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 PL. W ocenie wpływu na budżet płatnika zwraca się uwagę na niepewność związana z wielkością populacji docelowej.

Największy inkrementalny wpływ na przedstawione oszacowania względem sytuacji zgodnej z aktualnym PL B.54 ma włączenie nowej grupy chorych do schematu PVd (szacowany przyrost kosztu wynosi od ████████ mln zł rocznie). W przypadku istotnego obniżenia kosztu pomalidomidu względem ceny hurtowej brutto obowiązującej aktualnie (w związku z wejściem do refundacji leków generycznych), możliwe są istotne oszczędności w związku ze stosowaniem leku, poza schematem PVd i Pd, również w schematach EloPd, IsaPd. Szacowane oszczędności związane z obniżeniem ceny produktu leczniczego wahają się od ██████████ w poszczególnych latach analizy.

Główne argumenty decyzji:

- *umożliwienie zastosowania leku u większej liczby pacjentów;*
- *ograniczenie kosztów terapii.*

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt 4 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146) z uwzględnieniem raportu analitycznego nr: OT.422.0.60.2024 „Opracowanie dotyczące zmiany dostępności refundacyjnej produktów leczniczych zawierających substancję czynną pomalidomid z programu lekowego B.54: »Leczenie chorych na szpiczaka plazmocytozy (ICD 10 C90.0)« do katalogu leków refundowanych w chemioterapii”; data ukończenia: 22 listopada 2024 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców Bristol-Myers Squibb Pharma EEIG (Imnovid, Empliciti), Janssen-Cilag International NV (Tecvayli), Takeda Pharma A/S (Ninlaro), Sanofi Winthrop Industrie (Sarclisa)

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem (nie dotyczy) 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.

Podmioty, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Bristol-Myers Squibb Pharma EEIG (Imnovid, Empliciti), Janssen-Cilag International NV (Tecvayli), Takeda Pharma A/S (Ninlaro), Sanofi Winthrop Industrie (Sarclisa)