



Rekomendacja nr 50/2025

z dnia 25 kwietnia 2025 r.

**Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
w sprawie oceny leku Omjjara (mometotynib) w ramach
programu lekowego B.81. „Leczenie chorych na nowotwory
mieloproliferacyjne Ph (-) (ICD-10: D45, D47.1)”**

Prezes Agencji rekomenduje objęcie refundacją produktu leczniczego Omjjara (mometotynib) w ramach programu lekowego B.81. „Leczenie chorych na nowotwory mieloproliferacyjne Ph (-) (ICD-10: D45, D47.1)”, z bezpłatnym poziomem odpłatności dla pacjenta, w nowej grupie limitowej po spełnieniu **dodatkowych warunków** objęcia refundacją, o którym mowa w art. 35 ust. 8a ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, polegających na: obniżeniu zaproponowanej ceny hurtowej brutto o co najmniej 19%; zaproponowaniu dodatkowego mechanizmu polegającego na pokryciu 100% kosztów za każdego kolejnego pacjenta zakwalifikowanego ponad liczbę pacjentów wskazanych w analizie wpływu na budżet.

Uzasadnienie rekomendacji

Ocena dotyczy zasadności wprowadzenia do refundacji w programie lekowym (PL) B.81 kolejnego inhibitora kinazy janusowej (JAK), tj. mometotynibu (MMB). Populację docelową stanowią pacjenci dorośli z mielofibrozą pierwotną (PMF) i wtórną w przebiegu czerwienicy prawdziwej (post-PF MF) i nadpłytkowości samoistnej (post-ET MF) z umiarkowaną do ciężkiej anemią z ryzykiem pośrednim-1, pośrednim-2 oraz wysokim, którzy nie byli leczeni inhibitorem JAK (populacja JAK-naive) lub byli leczeni ruksolitynibem (RUX) (populacja JAK-exp). Aktualnie pacjenci z mielofibrozą (MF) kwalifikujący się do leczenia w ramach PL B.81. mają dostęp do RUX oraz fedratynibu (FED). Ponadto dostępne są także leki w katalogu chemioterapii (busulfan, dakarbazyna, etopozyd, hydroksykarbamid, anagrelid i peginterferon alfa-2a). Zatem pacjenci z MF mają w pewnym stopniu zaspokojone potrzeby zdrowotne.

Ocena skuteczności klinicznej i bezpieczeństwa stosowania wnioskowanej technologii opiera się na bezpośrednim porównaniu MMB vs RUX w populacji JAK-naive oraz porównaniach będących jedynie zestawieniem wyników dla MMB vs FED w populacjach JAK-naive i JAK-exp. Podsumowując wyniki terapia MMB vs RUX odznacza się porównywalną skutecznością w zakresie zmniejszenia objętości śledziony (potwierdzona hipoteza: non-inferiority), a także istotnie statystycznie wyższą skutecznością w zakresie liczby pacjentów niezależnych od transfuzji krwinek czerwonych. Zestawienie wyników MMB i FED wskazuje, że obie interwencje są skuteczne i wpływają na zmniejszenie objętości śledziony. W analizie bezpieczeństwa MMB vs RUX odznaczał się istotnie statystycznie niższym ryzykiem występowania zdarzeń niepożądanych (AE) prowadzących do redukcji dawki lub chwilowego przerwania leczenia, anemii (w tym stopnia ≥ 3) oraz trombocytopenii i nadciśnienia. W przypadku MMB i FED uzyskano numerycznie niższą częstość występowania AE. Głównym ograniczeniem analizy wpływającym na niepewność wnioskowania jest brak badań bezpośrednich dla porównania ocenianej technologii z FED, brak badań umożliwiających przeprowadzenie porównania pośredniego. Ponadto nie przeprowadzono porównania MMB z BMT, stanowiącego praktykę kliniczną w populacji polskich pacjentów z ryzykiem pośrednim-1, co także jest istotnym ograniczeniem analizy.

Wyniki analizy ekonomicznej w zakresie współczynnika ICUR dla porównania MMB z RUX znajdują się znacznie powyżej progu opłacalności (wariant z RSS: [redacted] zł/QALY szacunek wnioskodawcy; [redacted] zł/QALY szacunek Agencji niższa dawka RUX). Różnica w QALY między MMB a RUX to [redacted] QALY na korzyść MMB. Dla porównania MMB z FED [redacted] wykazano [redacted], a dla MMB z BMT (najlepsze dostępne leczenie), MMB wiąże się z wyższymi kosztami leczenia. Główne ograniczenia wynikają z ograniczeń analizy klinicznej, które przekładają się na strukturę modelu.

Wydatki płatnika publicznego, według wnioskodawcy, w ciągu pierwszych dwóch lat wzrosną w wariancie z RSS o [redacted]. Podstawowa niepewność wyników związana jest z oszacowaniami wielkości populacji docelowej.

Odnaleziono rekomendacje refundacyjne wydane przez zagraniczne agencje HTA: pozytywne (CDA AMC, SMC, PBAC, NICE i HAS) i negatywne (NCPE, HAS – w JAK-naïve). W pozytywnych zwracano uwagę na koszty, które nie powinny przekraczać poziomu kosztów stosowania RUX, lub najmniej kosztownego inhibitora JAK. W przypadku negatywnych uzasadnieniem były wysokie koszty leku.

Podsumowując, mimo ograniczeń związanych z niepewnością wyników analiz przedłożonych przez wnioskodawcę, mając na uwadze fakt, udowodnionej korzyści klinicznej w postaci zwiększenia niezależności od transfuzji krwinek czerwonych, można stwierdzić, że MMB mógłby stanowić opcję terapeutyczną w ocenianym wskazaniu. Mając na uwadze wyniki analiz, a w szczególności ekonomicznej i wpływu na budżet płatnika publicznego, uwzględniając Stanowisko Rady Przejrzystości, Prezes Agencji rekomenduje finansowanie produktu leczniczego Omjjara (mometynib) pod warunkiem wskazanym w sentencji.

Przedmiot wniosku

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy oceny zasadności finansowania ze środków publicznych produktu leczniczego Omjjara (mometynib), tabletki powlekane: 100 mg, 30 tabl., GTIN 05909991526177, 150 mg, 30 tabl., GTIN 05909991526184 i 200 mg, 30 tabl., GTIN 05909991526191; proponowana cena zbytu netto (CZN): [redacted] zł w ramach programu lekowego B.81. „Leczenie chorych na nowotwory mieloproliferacyjne Ph (-) (ICD-10: D45, D47.1)”, wydawanego bezpłatnie, w nowej grupie limitowej.

Problem zdrowotny

Mielofibroza (MF) jest rzadkim, agresywnym nowotworem mieloproliferacyjnym należącym do grupy nowotworów hematologicznych BCR-ABL1-ujemnych. Dzieli się na MF pierwotną rozwijającą się de novo (PMF) oraz wtórną rozwijającą się w przebiegu czerwienicy prawdziwej (post-PV MF) lub nadpłytkowości samoistnej (post-ET MF).

Mediana przeżycia całkowitego dla MF wynosi około 5–6 lat, a 10-letnie przeżycie jest 81% niższe niż w populacji ogólnej. W Europie zapadalność roczną na: MF szacuje się na 0,1-1,0/100 000.

Zgodnie z danymi NFZ w 2024 r. w ramach programu lekowego B.81. fedratynibem (FED) leczyło się 201, a ruksolitynibem (RUX) 1 069¹ pacjentów (unikalne numery PESEL).

Alternatywna technologia medyczna

Biorąc pod uwagę wytyczne kliniczne oraz technologie aktualnie finansowane w polskiej praktyce klinicznej za komparator dla Omjjara (mometynib) uznano w przypadku populacji dorosłych uprzednio nieleczonych inhibitorem JAK (JAK-naïve): ruksolitynib (RUX), fedratynib (FED) i najlepszą opiekę medyczną (BMT)²; u leczonych wcześniej inhibitorem JAK (JAK-exp) – FED.

Wybór komparatora uznano za zasadny.

Opis wnioskowanego świadczenia

MMB jest inhibitorem kinazy janusowej 1 i 2 (JAK1/JAK2). Działa przez blokowanie grupy enzymów (białek) JAK, które uczestniczą w wytwarzaniu i wzroście komórek krwi.

¹ od 1 listopada 2023 r. w ramach B.81. jest również terapia RUX w czerwienicy prawdziwej (PV) – wskazanie nie jest przedmiotem wniosku

² obejmującą hydroksymocznik i interferon

Zgodnie z ChPL Omjjara (MMB) jest wskazany w leczeniu powiększenia śledziony związanego z chorobą lub objawów występujących u dorosłych pacjentów z umiarkowaną do ciężkiej niedokrwistością, z pierwotnym włóknieniem szpiku, włóknieniem szpiku poprzedzonym czerwienicą prawdziwą lub włóknieniem szpiku poprzedzonym nadpłytkowością samoistną, którzy nie byli wcześniej leczeni inhibitorami kinazy janusowej (JAK) lub byli leczeni ruksolitynibem.

Wnioskowane wskazanie zawiera się we wskazaniu rejestracyjnym.

Ocena skuteczności (klinicznej oraz praktycznej) i bezpieczeństwa

Do analizy klinicznej włączono dla ocenianej interwencji: trzy badania RCT SIMPLIFY-1 (populacji JAK-naive), SIMPLIFY-2, MOMENTUM (populacji JAK-exp) oraz badanie efektywności praktycznej MoReLife (populacja mieszana: JAK-exp i JAK-naive), natomiast dla komparatorów: dwa badania RCT JAKARTA (populacji JAK-naive) i FREEDOM-2 (populacji JAK-exp) oraz dwa badania jednoramienne (nRCT) SIMPLIFY-2 i MOMENTUM (populacji JAK-exp). Dodatkowo w analizie uwzględniono przegląd systematyczny z metaanalizą sieciową (Sureau 2021) oraz porównania pośrednie metodą MAIC – abstrakty (Platzbecker 2023, Palandri 2024). Szczegółowy opis ww. publikacji znajduje się w Analizie Klinicznej wnioskodawcy (AKL).

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Populacja JAK-naive

MMB vs RUX (SIMPLIFY-1) – porównanie bezpośrednie

Terapia MMB w porównaniu do RUX odznacza się porównywalną skutecznością w zakresie:

- zmniejszenia objętości śledziony: 26,5% (57/215) MMB vs 29% (63/217) RUX; PD=0,09 [95% CI: 0,02; 0,16], p=0,011 (potwierdzono hipotezę non-inferiority).

Nie potwierdzono hipotezy non-inferiority dla zmniejszenia nasilenia objawów choroby ocenianych w skali TSS o $\geq 50\%$:

Istotnie statystycznie wyższą skuteczność MMB w porównaniu do RUX odnotowano w zakresie liczby pacjentów:

- niezależnych od transfuzji krwinek czerwonych: RR=1,35 [95% CI: 1,14; 1,59], p<0,001;
- zależnych od transfuzji krwinek czerwonych: RR=0,75 [95% CI: 0,58; 0,98], p=0,019.

Faza przedłużona badania (maksymalny czas trwania leczenia MMB to 192 tygodnie).

Nie odnotowano różnic istotnych statystycznie pomiędzy grupami MMB→MMB oraz RUX→MMB dla punktu końcowego: przeżycie całkowite (OS), przeżycie wolne od białaczki (LFS): Nie osiągnięto mediany OS i LFS.

MMB vs FED (SIMPLIFY-1, JAKARTA) – porównanie jakościowe (zestawienie wyników)

Obie interwencje są skuteczne i wpływają na zmniejszenie objętości śledziony [27% MMB; 36% FED] oraz zmniejszenie nasilenia objawów choroby tj. zmniejszenie wartości TSS o $\geq 50\%$ [28% MMB; 36% FED].

Populacja JAK-exp

MMB vs FED (SIMPLIFY-2, MOMENTUM, JAKARTA-2, FREEDOM, FREEDOM-2) - porównanie jakościowe (zestawienie wyników)

Obie interwencje są skuteczne i wpływają na redukcję objętości śledziony o $\geq 35\%$ [w zależności od badania: 7-22% MMB; 26-36% FED] oraz zmniejszenie nasilenia objawów choroby tj. zmniejszenie wartości całkowitego wskaźnika objawów (TSS) o $\geq 50\%$ [w zależności od badania: 25-26% MMB; 27-44% FED].

MMB vs FED (Palandri 2024) - MAIC abstrakt konferencyjny

FED vs MMB wykazał się istotnie wyższą skutecznością w przypadku odsetka pacjentów z redukcją objętości śledziony $\geq 35\%$ (OR = 1,98 [95% CI: 1,13; 3,48]). Brak istotnych różnic FED vs MMB dla odsetka pacjentów, u których wystąpiła redukcja TSS $\geq 50\%$.

Populacja mieszana: JAK-exp, JAK-naive

Efektywność praktyczna (MoReLife)

Odnotowano korzystny wpływ na zmniejszenie śledziny (25% pacjentów (13/53) mediana czasu do uzyskania poprawy wyniosła 5,7 tyg. [zakres: 2-13]), zmniejszenie nasilenia objawów objawami (47% pacjentów (24/51), mediana czasu do poprawy 4 tyg. [zakres: 2-11]), zmniejszenie zapotrzebowania na transfuzję krwinek czerwonych (39% pacjentów (15/38)), niezależność od transfuzji (21% pacjentów(8/38), mediana czasu do niezależności od transfuzji 4 tyg. [zakres: 2-12]). Ponadto MMB był dobrze tolerowany przez pacjentów i cechował się akceptowalnym profilem bezpieczeństwa.

Bezpieczeństwo

Populacja JAK-naïve

MMB vs RUX (SIMPLIFY-1) -porównanie bezpośrednie

MMB vs RUX cechuje się istotnie statystycznie:

- niższym ryzykiem występowania zdarzeń niepożądanych (AE) prowadzących do redukcji lub chwilowego przerwania leczenia (RR = 0,61 [95% CI: 0,38; 0,99]³), anemii (RR = 0,39 [95% CI: 0,27; 0,56], w tym stopnia ≥ 3 , RR = 0,27 [0,15; 0,48]) oraz trombocytopenii (RR = 0,64 [95% CI: 0,45; 0,91]) i nadciśnienia (RR = 0,45 [95% CI: 0,21; 0,97]);
- wyższym ryzykiem występowania AE prowadzących do przerwania terapii (RR = 3,72 [95% CI: 1,43; 9,64]⁴), AE prowadzących do utraty z badania (RR = 9,59 [95% CI: 2,26; 40,66]), powiązanych z efektem pierwszej dawki (RR = 7,07 [1,63; 30,71]), nudności (RR = 4,29 [95% CI: 2,03; 9,05]), niedociśnienia (RR = 19,18 [95% CI: 2,59; 141,98]) oraz neuropatii obwodowej (RR = 2,22 [95% CI: 1,08; 4,58]).

Ponadto wyniki wskazują, że AE ogółem, AE ≥ 3 stopnia, SAE oraz zgony występowały z podobną częstością w obu grupach. W fazie przedłużonej badania w grupie pacjentów zmieniających terapię z RUX na MMB anemia ≥ 3 stopnia wystąpiła u 3% pacjentów, natomiast trombocytopenia u 2% pacjentów.

MMB vs FED (SIMPLIFY-1, JAKARTA) - porównanie jakościowe (zestawienie wyników)

W grupie MMB raportowano numerycznie niższe odsetki pacjentów: AE ogółem (92,5%MMB vs 100%FED), AE ≥ 3 stopnia (36%MMB vs 54,2%FED), SAE (22,9%MMB vs 27,1%FED), zgon (3,3%MMB vs 4,2%FED), AE prowadzące do przerwania terapii (12,6%MMB vs 13,5%FED) i prowadzące do utraty z badania (8,8%MMB vs 13,5%FED). Ponadto w grupie MMB odsetek pacjentów raportujących AE ≥ 3 stopnia, anemii (ogółem i ≥ 3 stopnia), trombocytopenii, neutropenii, biegunki oraz nudności był niższy o ok. 20 pp. lub więcej niż w FED.

MMB vs FED (Platzbecker 2023) - MAIC abstrakt konferencyjny

MMB vs FED istotnie niższe odsetki pacjentów: AE ≥ 3 stopnia, SAE oraz SAE prowadzących do redukcji dawki lub chwilowego przerwania leczenia oraz w przypadku szczegółowych AE, w grupie pacjentów przyjmujących MMB obserwuje się istotnie niższe odsetki pacjentów z anemią (ogółem i ≥ 3 stopnia), trombocytopenią (ogółem), bólem głowy (≥ 3 stopnia), biegunką oraz nudnościami.

Populacja JAK-exp

MMB vs FED (SIMPLIFY-2, MOMENTUM, JAKARTA-2, FREEDOM, FREEDOM-2) porównanie jakościowe (zestawienie wyników)

W MMB vs FED raportowano numerycznie niższe odsetki pacjentów z AE ogółem [w zależności od badania: 93,8-97,1%MMB; 99-100%FED], AE ≥ 3 stopnia [w zależności od badania: 53,8-59,6%MMB; 62,3-73,7%FED], AE prowadzące do redukcji dawki lub przerwania leczenia [w zależności od badania: 16,3-33,8%MMB; 52,2%FED]. W grupie MMB stwierdzono wyższy odsetek pacjentów z AE prowadzących do przerwania terapii [w zależności od badania: 17,7-21,2%MMB; 9,7%FED] oraz zgonu [w zależności od badania: 7,7-19,2%MMB; 4,5-5,3%FED].

³ Podgrupa pacjentów z umiarkowaną lub ciężką anemią (stężenie Hb <10 g/dl), tj. populacja docelowa objęta programem lekowym.

⁴ ibid.

W grupie leczonej MMB w ramach badania SIMPLIFY-2 odsetek chorych z anemią (w tym anemią stopnia ≥ 3) oraz trombocytopenią był numerycznie niższy niż w grupie leczonej FED (JAKARTA-2 i FREEDOM). W grupie MMB odsetki pacjentów z anemią oraz trombocytopenią były bardzo wysokie, przy czym obecność anemii stanowiła kryterium włączenia do badania MOMENTUM.

MMB vs FED (Platzbecker 2023) - MAIC abstrakt konferencyjny

W grupie MMB vs FED, występuje istotnie niższe ryzyko: AE prowadzących do przerwania terapii oraz redukcji dawki lub chwilowego przerwania leczenia oraz w przypadku szczegółowych AE, w grupie MMB obserwuje się istotnie niższe ryzyko wystąpienia anemii (ogółem i ≥ 3 stopnia), bólu głowy (≥ 3 stopnia), biegunki oraz nudności.

Populacja mieszana: JAK-exp, JAK-naïve

Efektywność praktyczna (RWE)

Zgon odnotowano u 2 pacjentów (niekontrolowana choroba MF po 6 tyg. terapii; niewydolność serca, niezależnie od leczenia MMB i po zaprzestaniu jego stosowania). Zdarzenia niepożądane występujące w czasie leczenia (TEAE) raportowano u 78% pacjentów. Przerwanie terapii w wyniku TEAE u 8% pacjentów (głównie trombocytopenia – 60% pacjentów). Najczęściej raportowanymi TEAE była trombocytopenia (37% w tym trombocytopenia ≥ 3 stopnia u 25% pacjentów), zmęczenie (23%), biegunka (17%), wzrost kreatyniny (17%), ból brzucha (15%) oraz zawroty głowy (13%). W ocenie autorów badania MMB był dobrze tolerowany przez pacjentów i cechował się akceptowalnym profilem bezpieczeństwa.

Dodatkowe informacje w zakresie skuteczności i bezpieczeństwa

ChPL produktu leczniczego Omjjara (mometynib) wskazuje, że do zdarzeń niepożądanych występujących bardzo często ($\geq 1/10$) należą: trombocytopenia, zawroty głowy, ból głowy, kaszel, biegunka, ból brzucha, nudności, osłabienie, zmęczenie.

Ograniczenia

Głównym ograniczeniem analizy jest brak badań bezpośrednio porównujących ocenianą interwencję z FED, a także brak badań umożliwiających przeprowadzenie porównania pośredniego z tym komparatorem, oraz brak porównania MMB z BMT w populacji pacjentów z ryzykiem pośrednim-1. Ponadto na niepewność wnioskowania ma wpływ także krótki okres trwania badań (24-tyg.) oraz heterogeniczność badań. Pozostałe ograniczenia omówiono w Analizie Weryfikacyjnej (AWA) oraz AKL wnioskodawcy.

Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka

Ocena ekonomiczna, w tym szacunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy wyniki z perspektywy NFZ dla porównania:

- MMB vs RUX (analizy kosztów-użyteczności (CUA)) wariant bez RSS: ICUR=5,9 mln zł/QALY, a z RSS: ICUR= [redacted]. Progowa CZN wynosi [redacted]. Oszacowana różnica w QALY między analizowaną interwencją, a komparatorem wynosi [redacted] QALY na korzyść interwencji ocenianej. Koszty leków w perspektywie NFZ w wariancie z RSS MMB [redacted] a RUX [redacted].
- MMB vs FED (analizę kosztów-konsekwencji (CCA)) w perspektywie NFZ dla MMB: CUR= [redacted] zł/QALY z RSS (458 868 zł/QALY bez RSS), a dla FED: CUR= 201 845 zł/QALY.
- MMB vs BAT (CCA) w perspektywie NFZ dla MMB: CUR= [redacted] zł/QALY z RSS (449 228 zł/QALY bez RSS), a dla BAT: CUR⁶=9 796 zł/QALY.

Wyniki w perspektywie wspólnej są zbliżone.

⁵ Progowa CZN w obu perspektywach oszacowana przez Agencję na podstawie materiałów wnioskodawcy - skorygowano próg opłacalności.

⁶ Obliczony jako średnia ważona: HM – hydroksymocznik, ANA – anagrelid, MEL – melfalan, BUS – busulfan, PEGa – peginterferon alfa

Ograniczenia

Główny wpływ na niepewność oszacowań mają ograniczenia analizy klinicznej, które przekładają się na założenia przyjęte w modelu ekonomicznym. Pozostałe ograniczenia omówiono w AWA.

Obliczenia własne Agencji

W szacunkach uwzględniono koszt mniejszej dawki RUX, z perspektywy NFZ współczynnik ICUR wynosi [] zł/QALY, progowa CZN [] zł/opak.

Wskazanie czy zachodzą okoliczności, o których mowa w art. 13 ust. 3 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2024 r. poz. 930).

W populacji JAK-naïve z ryzykiem pośrednim-2 i wysokim nie zachodzi art. 13. ust. 3. ustawy o refundacji, natomiast w pozostałych przypadkach zachodzi. Wartość ceny zbytu netto w przypadku porównania z FED [] zł, a z BAT (najkorzystniejszy CUR dla hydroksymocznik) [] zł.

Ocena wpływu na system ochrony zdrowia, w tym wpływu na budżet płatnika publicznego

Liczebność populacji docelowej oszacowano na: [] pacjentów w I., [] w II. roku analizy w scenariuszu nowym.

Objęcie refundacją MMB spowoduje, odpowiednio w I. i II. roku refundacji, wzrost wydatków płatnika o ok. [] zł z RSS (16,98 mln zł bez RSS) i [] zł z RSS (37,99 mln zł bez RSS) – perspektywa NFZ. Wyniki z perspektywy wspólnej są zbliżone. Koszty leku wyniosą w scenariuszu prawdopodobnym [] odpowiednio w I i II roku refundacji.

Ograniczenia

Głównym ograniczeniem analizy jest niepewność związana z określeniem przyszłych udziałów MMB i komparatorów oraz wielkość populacji docelowej. Pozostałe ograniczenia omówiono w AWA.

Uwagi do proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka

Mając na uwadze wyniki analizy ekonomicznej i wpływu na budżet płatnika publicznego zaproponowany RSS nie jest wystarczający.

Uwagi do programu lekowego

Brak uwag.

Omówienie rozwiązań proponowanych w analizie racjonalizacyjnej

Nie dotyczy.

Omówienie rekomendacji w odniesieniu do ocenianej technologii

Włączono trzy najnowsze wytyczne dotyczące postępowania w mielofibrozie z towarzyszącą anemią – NCCN 2025, BSF 2024 i GCG 2024. We wszystkich odnalezionych dokumentach terapia MMB wymieniana jest jako jedna z możliwych opcji terapeutycznych.

Odnaleziono osiem rekomendacji refundacyjnych dotyczące MMB w leczeniu MF: w tym pięć pozytywnych (CDA AMC, SMC, PBAC, NICE i HAS), trzy negatywne (NCPE, HAS – w populacji nieleczonej JAKi oraz w ramach wczesnego dostępu). W rekomendacjach pozytywnych zwracano m.in. uwagę na koszty, które nie powinny przekraczać poziomu stosowania RUX, lub najmniej kosztownego JAKi. W rekomendacjach negatywnych zwraca się głównie uwagę na wysoką cenę leku, wątpliwy dobór danazolu jako komparatora w badaniu, brak wpływu na OS, niewystarczającą korzyść kliniczną.

Według informacji przedstawionych przez wnioskodawcę produkt leczniczy Omjjara (mometynib, MMB) jest finansowany w [] krajach UE i EFTA (Danii, Grecji, Niemcy, Norwegia).

ZASTĘPCA PREZESA

Anna Kowalczyk

/dokument podpisany elektronicznie/

Rekomendacja została przygotowana na podstawie zlecenia z dnia 19.12.2024 r. Ministra Zdrowia (znak pism: PLR.4500.3741.2024.19.PRU, PLR.4500.3742.2024.19.PRU, PLR.4500.3743.2024.19.PRU) w sprawie przygotowania rekomendacji Prezesa w sprawie oceny leku: Omjjara (mometotinib), w ramach pogram lekowy B.81. „Leczenie chorych na nowotwory mieloproliferacyjne Ph (-) (ICD-10: D45, D47.1)”, na podstawie art. 35 ust 1. ustawy z dnia 12 maja 2011 roku o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2024 r. poz. 930), po uzyskaniu Stanowiska Rady Przejrzystości nr nr 46/2025 z dnia 22 kwietnia 2025 roku w sprawie oceny leku Omjjara (mometotinib) w ramach programu lekowego B.81. „Leczenie chorych na nowotwory mieloproliferacyjne Ph (-) (ICD-10: D45, D47.1)”

Piśmiennictwo

1. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 46/2025 z dnia 22 kwietnia 2025 roku w sprawie oceny leku Omjjara (mometotinib) w ramach programu lekowego B.81. „Leczenie chorych na nowotwory mieloproliferacyjne Ph (-) (ICD-10: D45, D47.1)”
2. Raport nr OT.423.1.80.2024 Wniosek o objęcie refundacją leku Omjjara (mometotinib) we wskazaniu: w ramach programu lekowego B.81. „Leczenie chorych na nowotwory mieloproliferacyjne Ph (-) (ICD-10: D45, D47.1)”. Analiza weryfikacyjna. Data ukończenia: 10 kwietnia 2025 r.