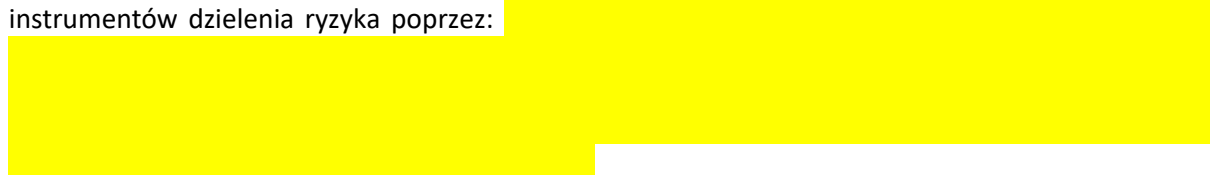




**Rekomendacja nr 207/2025
z dnia 29 grudnia 2025 r.**

**Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
w sprawie objęcia refundacją produktu leczniczego Carvykti (cytlakabtagen
autoleucel) w ramach programu lekowego B.54. „Leczenie chorych na
szpiczaka plazmocytoowego (ICD-10: C90.0)”**

Prezes Agencji rekomenduje objęcie refundacją produktu leczniczego Carvykti w programie lekowym B.54. „Leczenie chorych na szpiczaka plazmocytoowego (ICD-10: C90.0)”, bezpłatnie dla pacjenta, w ramach nowej grupy limitowej, **pod warunkiem** dalszego obniżenia ceny oraz rozszerzenia instrumentów dzielenia ryzyka poprzez:



Uzasadnienie

Ocena dotyczy włączenia produktu leczniczego Carvykti (cytlakabtagen autoleucel) do programu lekowego B.54 w leczeniu dorosłych pacjentów z szpiczakiem plazmocytoowym, którzy stosowali uprzednio jedną albo dwie linie leczenia szpiczaka plazmocytoowego, w tym zawierające lek immunomodulujący i inhibitor proteasomu, a w trakcie ostatniego leczenia lub po jego zakończeniu nastąpiła progresja choroby oraz wystąpiła oporność na leczenie lenalidomidem.

Aktualnie we wnioskowanym wskazaniu refundowane są różne schematy leczenia w ramach programu lekowego B.54 i katalogu chemioterapii.

Zgodnie z wytycznymi w ocenianym wskazaniu preferowane są trójkowe schematy terapeutyczne zawierające przeciwciała anti-CD38 (izatuksymab lub daratumumab) w połączeniu z karfilzomibem i deksametazonem (IsaKD, DKd) ze względu na ich wyższą skuteczność względem (również zalecanych) terapii, takich jak PVd, DVd oraz Kd. Zgodnie z polskimi zaleceniami, terapia CILTA-CEL jest uznawana za najskuteczniejszą w ocenianej populacji pacjentów, a jej zastosowanie rekomendują również wytyczne NCCN 2025 oraz EHA 2025.

Ocenę skuteczności i bezpieczeństwa terapii CILTA-CEL oparto na wynikach badania CARTITUDE-4 (vs PVd/DPd) oraz wynikach porównań pośrednich (vs EloPd, IsaPd, DVd, Kd, Pd, IDE-CEL). Wyniki analizy klinicznej wskazują, że terapia CILTA-CEL wykazuje istotne statystycznie korzyści względem wszystkich uwzględnionych opcji terapeutycznych m.in. w zakresie przeżycia wolnego od progresji choroby, przeżycia całkowitego, odpowiedzi na leczenie oraz jakości życia.

Wyniki analizy bezpieczeństwa wskazują, że na brak istotnych różnic między CILTA-CEL a PVd/DPd w zakresie ryzyka TEAE (w tym 3.–4. stopnia), TRAE i SAE (w tym 3.–4. stopnia) w badaniu CARTITUDE-4. Stosowanie CILTA-CEL wiązało się natomiast z IS wzrostem ryzyka wystąpienia poszczególnych SAE tj. m.in. zaburzenia układu nerwowego, zespół uwalniania cytokin (CRS), porażenie nerwu twarzowego. W porównaniach pośrednich z innymi schematami (EloPd, IsaPd, DVd, Kd, Pd) TEAE występowały u wszystkich pacjentów leczonych CILTA-CEL, natomiast dla komparatorów częstość występowania (w zależności od badania) wyniosła od 93 do 100%. SAE wystąpiły u 44% pacjentów stosujących CILTA-CEL w porównaniu do 37–77% pacjentów stosujących komparatory.

U pacjentów stosujących terapię CAR-T obserwowano typowy dla tego rodzaju terapii: CRS, neurotoksyczność i zespół neurotoksyczności związanej z komórkami efektorowymi układu odpornościowego (ICANS) – większość w stopniu łagodnym.

W ocenie ekonomicznej wykazano, że stosowanie leku Carvykti względem obecnie refundowanych komparatorów jest droższe i skuteczniejsze. Wartości ICUR dla porównania z większością komparatorów przekraczają próg opłacalności. Wyjątek stanowi porównanie z IsaPd oraz idekabtagen wikleucel (IDE-CEL) – dla obu tych opcji wartości ICUR (w wariancie z RSS) są poniżej progu opłacalności, przy czym IDE-CEL nie jest obecnie refundowany (w procesie oceny).

Wyniki analizy wpływu na budżet wnioskodawcy wskazują na znaczny wzrost wydatków płatnika publicznego o ok. [] w I roku i [] w II roku refundacji w wariancie z RSS.

Mając na uwadze potencjalne korzyści kliniczne wynikające ze stosowania terapii, a jednocześnie brak efektywności kosztowej w porównaniu z większością komparatorów oraz prawdopodobne bardzo wysokie obciążenie budżetu płatnika publicznego, przy jednoczesnej niepewności dotyczącej liczebności populacji docelowej, uwzględniając Stanowisko Rady Przejrzystości, Prezes Agencji rekomenduje finansowanie produktu leczniczego Carvykti na warunkach określonych w sentencji.

Przedmiot wniosku

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy oceny zasadności finansowania ze środków publicznych produktu leczniczego Carvykti (cytlakabtagen autoleucel), dyspersja do infuzji, $3,2 \times 10^6$ - $1,0 \times 10^8$ komórek, 1 worek, GTIN: 05413868121568, cena zbytu netto: [], wydawanego bezpłatnie w programie lekowym B.54, w nowej grupie limitowej.

Problem zdrowotny

Szpiczak plazmocytowy (ang. *plasma cell myeloma*, PCM), inaczej szpiczak mnogi (ang. *multiple myeloma*, MM), to przebiegająca wieloetapowo choroba nowotworowa charakteryzująca się niekontrolowaną, wieloogniskową proliferacją i gromadzeniem monoclonalnych plazmocytów w szpiku, wytwarzających monoclonalną immunoglobulinę lub same monoclonalne łańcuchy lekkie immunoglobulin (tzw. białko M) i powodujących uszkodzenia narządowe. Etiologia choroby jest nieznaną.

Leczenie umożliwia uzyskanie remisji i wydłużenie przeżycia. W większości przypadków choroba postępuje lub nawraca po kolejnych liniach leczenia. Najczęstszą przyczyną zgonu są zakażenia. Mediana czasu przeżycia chorych z objawową, postępującą postacią choroby wynosi 5–7 lat.

PCM stanowi ok. 1% wszystkich nowotworów złośliwych i ok. 14% nowotworów układu krwiotwórczego. Zapadalność roczna w Europie wynosi 4,5–6/100 000, szczyt zachorowań przypada na 7. dekadę życia (mediana wieku 70 lat). Według Polskiego Towarzystwa Onkologii Klinicznej (2020), w Polsce stwierdza się ponad 1500 nowych zachorowań rocznie, jednak liczba ta jest prawdopodobnie niedoszacowana.

Zgodnie z danymi NFZ, w programie lekowym B.54. „Leczenie chorych na szpiczaka plazmocytoowego (ICD-10: C90.0)” leczonych było 2 416 pacjentów w 2023 roku oraz 3 984 pacjentów w 2024 roku.

Alternatywna technologia medyczna

Wnioskodawca jako komparatory dla ocenianej technologii wskazał:

- schematy stosowane w ramach programu lekowego B.54:
 - DVd (daratumumab + bortezomib + deksametazon),
 - EloPd (elotuzumab + pomalidomid + deksametazon),
 - IsaPd (izatuksymab + pomalidomid + deksametazon),
 - Kd (karfilzomib + deksametazon) oraz
- schematy refundowane w ramach katalogu chemioterapii:
 - PVd (pomalidomid, bortezomib, deksametazon),
 - Pd (pomalidomid, deksametazon),
 - PCd (pomalidomid, cyklfosfamid, deksametazon).

Wnioskodawca uwzględnił również inną terapię CAR-T tj. idekabtagen wikleucel (IDE-CEL), która była oceniana przez AOTMiT w lipcu 2025 roku w populacji pacjentów leczonych ≥ 2 wcześniejszymi liniami

leczenia. Niniejsza ocena Carvykti obejmuje z kolei populację pacjentów leczonych uprzednio jedną lub dwoma liniami leczenia. W związku z powyższym, ze względu na częściową zgodność populacji docelowych obu terapii (w odniesieniu do pacjentów w 3. linii leczenia), terapia IDE-CEL, pomimo braku refundacji, stanowi potencjalny komparator dla CILTA-CEL.

Wybór komparatorów uznaje się za zasadny.

Opis wnioskowanego świadczenia

CARVYKTI to ukierunkowana na BCMA, genetycznie zmodyfikowana autologiczna immunoterapia limfocytami T, która polega na przeprogramowaniu własnych limfocytów T pacjenta za pomocą transgenu kodującego chimeryczny receptor antygenowy (CAR), który identyfikuje i eliminuje komórki wykazujące ekspresję BCMA. BCMA ulega ekspresji przede wszystkim na powierzchni komórek linii B szpiczaka mnogiego, a także komórek B i komórek plazmatycznych w późnym stadium rozwoju. Białko CAR w produkcie CARVYKTI zawiera dwie pojedyncze domeny przeciwciał ukierunkowanych na BCMA, zaprojektowane tak, aby zapewnić wysoką reaktywność przeciwko ludzkiej BCMA, domenę ko-stymulacyjną 4-1BB i cytoplazmatyczną domenę sygnalizacji CD3-zeta. Po związaniu się z komórkami wykazującymi ekspresję BCMA, CAR promuje aktywację limfocytów T, ekspansję i eliminację komórek docelowych. Terapia polega na podaniu jednej dawki leku w formie infuzji.

Zgodnie z Charakterystyką Produktu Leczniczego (ChPL) Carvykti jest wskazany do leczenia dorosłych pacjentów z nawrotowym i opornym na leczenie PCM, u których stosowano co najmniej jedną wcześniejszą terapię, w tym lek immunomodulujący i inhibitor proteasomu oraz u których stwierdza się progresję choroby w trakcie ostatniej metody leczenia i są oporni na leczenie lenalidomidem.

Wnioskowane wskazanie refundacyjne jest zgodne z zarejestrowanym.

Ocena skuteczności (klinicznej oraz praktycznej) i bezpieczeństwa

Do przeglądu włączono 1 badanie z randomizacją (III fazy, otwarte, hipoteza *superiority*) – CARTITUDE-4 – porównujące CILTA-CEL z jednym ze schematów wybranych przez lekarza tj. PVD i DPd. W wyniku przeglądu nie odnaleziono badań bezpośrednio porównujących CILTA-CEL z pozostałymi komparatorami, w związku z tym przedstawiono wyniki 5 porównań pośrednich, których szczegóły przedstawiono w analizie weryfikacyjnej i analizach wnioskodawcy.

Skuteczność

CARTITUDE-4: CILTA-CEL vs PVD/DPd

Wyniki badania CARTITUDE-4 wskazują, że przy medianie okresu obserwacji wynoszącej ok. 34 miesiące stosowanie terapii CILTA-CEL w porównaniu z PVD/DPd:

- IS zmniejszało ryzyko wystąpienia progresji choroby (PFS; o 71%) – mediana PFS w grupie CILTA-CEL nie została osiągnięta, w grupie PVD/DPd wyniosła 11,8 miesięcy;
- IS zmniejszało ryzyko zgonu (o 45%);
- IS zwiększało prawdopodobieństwo ogólnej odpowiedzi na leczenie (ORR; 85% vs 67%) – mediana czasu trwania odpowiedzi dla CILTA-CEL nie została osiągnięta, w grupie PVD/DPd wyniosła ok. 19 mies.;
- IS zwiększało prawdopodobieństwo całkowitej „rygorystycznej” odpowiedzi (sCR; 69% vs 18%);
- IS zwiększało prawdopodobieństwa otrzymania wyniku będącego poniżej progu minimalnej choroby resztkowej (MRD), co wiąże się z poprawą wyników leczenia pacjentów;
- IS poprawiało jakość życia pacjentów względem wartości wyjściowych w globalnej ocenie stanu zdrowia oraz w obszarach funkcjonowania fizycznego, emocjonalnego i społecznego; w domenach objawowych zaobserwowano IS zmniejszenie nasilenie zmęczenia i bólu; stosowanie CILTA-CEL IS wydłużyło także czas do pogorszenia nasilenia objawów.

Porównania pośrednie: CILTA-CEL vs schematy EloPd, IsaPd, DVd, Kd i Pd

Wyniki porównań pośrednich CILTA-CEL z komparatorami wykazały:

- IS wydłużenie mediany PFS w porównaniu z EloPd, IsaPd, DVd, Kd i Pd (mediana nie osiągnięta vs ok. 8-11 mies.; redukcja ryzyka progresji o ok. 62% – 80% vs komparatory);

- IS redukcję ryzyka zgonu w porównaniu ze wszystkimi schematami (od 52% vs EloPd do 69% vs Pd);
- IS zwiększenie szansy uzyskania ORR, w tym co najmniej całkowitej oraz co najmniej bardzo dobrej odpowiedzi na leczenie w stosunku do EloPd i IsaPd; IS zwiększenie szansy na uzyskanie ORR i co najmniej całkowitej odpowiedzi na leczenie względem Pd; IS zwiększenie szansy co najmniej całkowitej odpowiedzi i co najmniej bardzo dobrej odpowiedzi względem DVd i Kd.

Spośród analizowanych terapii największą poprawę jakości życia w zakresie globalnego stanu zdrowia względem wartości wyjściowej odnotowano dla CILTA-CEL. Poprawę obserwowano również w przypadku IsaPd i DVd, natomiast schematy PVd, Kd i Pd utrzymywały wyniki na stabilnym poziomie.

CARTITUDE-4, KarMMa-3 (porównanie pośrednie): CILTA-CEL vs IDE-CEL

Wyniki porównania pośredniego (MAIC) wykazały IS przewagę CILTA-CEL w zakresie:

- PFS (58% redukcji ryzyka wystąpienia progresji choroby);
- OS (zmniejszenie ryzyka zgonu o 42%);
- prawdopodobieństwa uzyskania ORR, co najmniej bardzo dobrej odpowiedzi na leczenie ($\geq$ VGPR) oraz co najmniej całkowitej odpowiedzi na leczenie ($\geq$ CR) –CILTA-CEL: 87%, IDE-CEL: 71%.

Bezpieczeństwo

CARTITUDE-4: CILTA-CEL vs PVd/DPd

W badaniu CARTITUDE-4 nie wykazano IS różnic pomiędzy terapią CILTA-CEL i PVd/DPd w zakresie ryzyka wystąpienia zdarzeń niepożądanych zaistniałych w trakcie leczenia niezależnie od stopnia i 3–4. stopnia (TEAE; ang. *treatment-emergent adverse events*), TEAE 3–4. stopnia, zdarzeń niepożądanych uznanych za związane z leczeniem (TRAЕ, ang. *treatment-related Adverse Events*) i ciężkich zdarzeń niepożądanych (SAE; ang. *Serious adverse events*), w tym 3–4 stopnia. Stosowanie CILTA-CEL vs PVd/DPd wiązało się natomiast z IS wzrostem ryzyka wystąpienia poszczególnych SAE tj. zaburzenia układu nerwowego, zespół uwalniania cytokin, porażenie nerwu twarzowego, biegunka oraz zaburzenia układu immunologicznego. Ww. zdarzenia odnotowano u kilku procent pacjentów leczonych CILTA-CEL.

W grupie CILTA-CEL u 76% chorych odnotowano wystąpienie zespołu uwalniania cytokin (CRS; ang. *Cytokine Release Syndrome*), typowego dla tego rodzaju leczenia. W większości przypadków nasilenie było łagodne. U odpowiednio 20% i 5% pacjentów leczonych CILTA-CEL odnotowano występowanie innych TEAE specyficznych dla terapii CAR-T, tj. neurotoksyczności oraz zespołu neurotoksyczności związanego z komórkami efektorowymi układu odpornościowego (ICANS; ang. *immune effector cell-associated neurotoxicity syndrome*), wraz z objawami towarzyszącymi. Zdarzenia te występowały głównie w łagodnym stopniu.

Porównania pośrednie: CILTA-CEL vs schematy EloPd, IsaPd, DVd, Kd i Pd

Jakiegokolwiek TEAE odnotowano u wszystkich pacjentów leczonych CILTA-CEL. W przypadku komparatorów TEAE, niezależnie od stopnia nasilenia, wystąpiło u 93%–100% pacjentów. SAE stwierdzono u 44% pacjentów leczonych CILTA-CEL, natomiast w grupach komparatorów w zależności od badania od 37% do 77%. Najczęściej występującymi TEAE 3.–4. stopnia w grupie CILTA-CEL były zaburzenia hematologiczne, w tym neutropenia (90%), trombocytopenia (41%), niedokrwistość (36%) oraz limfopenia (21%). W grupach komparatorów zdarzenia hematologiczne o nasileniu $\geq$ 3. stopnia występowały maksymalnie u nieco ponad połowy badanych. U pacjentów leczonych CILTA-CEL obserwowano również typowe dla terapii CAR-T przypadki CRS, neurotoksyczności oraz ICANS.

CARTITUDE-4, KarMMa-3 (porównanie pośrednie): CILTA-CEL vs IDE-CEL

TEAE (w tym TEAE 3–4. stopnia), SAE oraz TRAЕ występowały z podobną częstością w grupie CILTA-CEL i IDE-CEL. W obu przypadkach najczęściej odnotowywano hematologiczne zdarzenia niepożądane o nasileniu 3–4. stopnia. U pacjentów leczonych CILTA-CEL znacznie rzadziej raportowano niedokrwistość i limfopenię, natomiast częściej występowała neutropenia. Pozostałe zdarzenia 3–4 stopnia występowały z podobną częstością w grupach CILTA-CEL i IDE-CEL. Typowe dla terapii CAR-T przypadki CRS występowały u mniejszego odsetka pacjentów leczonych CILTA-CEL w porównaniu z IDE-CEL. Neurotoksyczność oraz przypadki zespołu neurotoksyczności związanej z ICANS o nasileniu 3–4

stopnia odnotowano odpowiednio u 3% i <1% pacjentów leczonych CILTA-CEL, natomiast w grupie IDE-CEL łączna częstość neurotoksyczności i ICANS wyniosła 3%.

Ograniczenia

Kluczowe ograniczenia obejmują brak bezpośrednich porównań z większością komparatorów; rozbieżności pomiędzy populacją badania CARTITUDE-4 (2–4. linia leczenia; 73% pacjentów w 2 i 3. linii), a populacją docelową (2–3. linia), mogąca wpływać na ekstrapolację wyników, mimo że analizy warstwowe nie wykazały istotnych interakcji; niedojrzałe dane kliniczne pochodzące z badania CARTITUDE-4 (badanie w toku); przyjęcie założeń o potencjalnej równoważności skuteczności w przypadku schematu PCd; brak danych dotyczących bezpieczeństwa dla porównanie terapii CILTA-CEL z PVd; brak danych efektywności praktycznej.

Pozostałe ograniczenia zostały przedstawione w Analizie Weryfikacyjnej.

Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka

Zaproponowano mechanizm dzielenia ryzyka

Ocena ekonomiczna, w tym szacunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

Przeprowadzono analizę kosztów-użyteczności (CUA) porównując CILTA-CEL z 7 terapiami refundowanymi

- od 2. linii DVd, Kd, PVd, PCd, Pd;
- od 3. linii EloPd, IsaPd.

Analizę przeprowadzono z perspektywy NFZ oraz wspólnej obejmującej dodatkowo świadczeniobiorcę. Przyjęto dożywotni horyzont czasowy (40-letni).

Zgodnie z oszacowaniami na podstawie modelu wnioskodawcy stosowanie CILTA-CEL w miejsce komparatorów jest droższe i skuteczniejsze. Oszacowany ICUR wyniósł dla porównania CILTA-CEL vs:

- PVd: w wariantach z RSS i 288 170 PLN/QALY w wariantach bez RSS;
- Kd: w wariantach z RSS i 273 747 PLN/QALY w wariantach bez RSS;
- DVd: w wariantach z RSS i 284 357 PLN/QALY w wariantach bez RSS;
- IsaPd: w wariantach z RSS i 240 156 PLN/QALY w wariantach bez RSS;
- PCd: w wariantach z RSS i 310 377 PLN/QALY w wariantach bez RSS;
- Pd: w wariantach z RSS i 289 368 PLN/QALY w wariantach bez RSS;
- EloPd: w wariantach z RSS i 255 788 PLN/QALY w wariantach bez RSS.

Wartości ICUR dla porównania CILTA-CEL vs IsaPd znajdują się poniżej progu opłacalności. Dla pozostałych porównań wartości ICUR znajdują się powyżej progu (244 821 PLN/QALY).

Ceny progowe produktu leczniczego Carvykti wynoszą odpowiednio dla porównania CILTA-CEL vs:

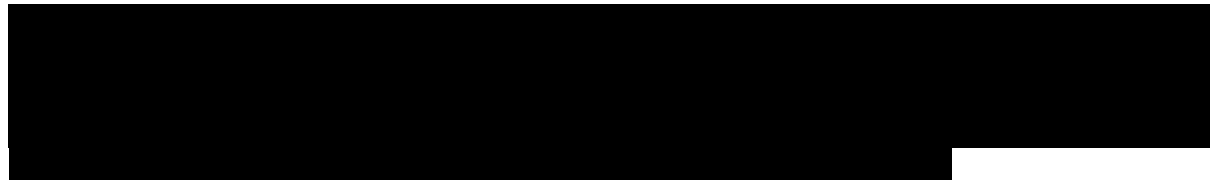
- PVd: ,
- Kd: ,
- DVd: ,
- IsaPd: ,
- PCd: ,
- Pd: ,
- EloPd: .

Dodatkowo w ramach analizy uzupełniającej wnioskodawca przeprowadził porównanie z inną terapią CAR-T tj. IDE-CEL, która aktualnie nie jest refundowana przy czym jest obecnie w procesie oceny. Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy stosowanie CILTA-CEL w miejsce IDE-CEL (od 3. linii) jest droższe i skuteczniejsze. Oszacowany ICUR w wariantach z RSS wyniósł i jest to wartość przyjętego progu opłacalności.

Ograniczenia

Główne ograniczenia analizy ekonomicznej wynikają przede wszystkim z braku bezpośrednich badań porównawczych CILTA-CEL z większością komparatorów oraz różnic w charakterystyce populacji i schematów leczenia badania CARTITUDE-4.

Obliczenia własne Agencji



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 2025 r. poz. 907, z późn. zm.);

Nie zachodzą okoliczności art. 13 ust. 3 ustawy o refundacji.

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

Analiza wpływu na budżet została przeprowadzona w dwuletnim horyzoncie czasowym z perspektywy płatnika publicznego (NFZ) oraz wspólnej obejmującej dodatkowo świadczeniobiorcę.

Oszacowano liczbę pacjentów stosujących wnioskowaną technologię w scenariuszu nowym na [redacted] pacjentów w I roku oraz [redacted] pacjentów w II roku.

Wyniki analizy wskazują, że objęcie refundacją leku Carvykti spowoduje wzrost wydatków płatnika publicznego w wariantcie z RSS o:

- [redacted] w I roku refundacji
- [redacted] w II roku refundacji.

W wariantcie bez RSS dodatkowe wydatki płatnika publicznego wyniosą 87,84 mln PLN i 158 mln PLN odpowiednio w I i II roku.

Składowa kosztu, stanowiąca kwotę refundacji produktu leczniczego Carvykti w wariantcie z RSS wynosi [redacted] w I roku i [redacted] w II roku analizy.

Ograniczenia

Najważniejszym ograniczeniem przeprowadzonej analizy jest znaczna niepewność dotycząca wielkości populacji docelowej. Jej oszacowanie oparto na wynikach badania ankietowego przeprowadzonego wśród ekspertów klinicznych wskazanych przez wnioskodawcę. Mimo, że liczba pacjentów stosujących CILTA-CEL została poddana analizie wrażliwości, parametr ten nadal charakteryzuje się dużą niepewnością. Ze względu na wysokie koszty terapii, nawet niewielki wzrost liczby pacjentów skutkuje istotnym zwiększeniem wydatków.

Obliczenia własne Agencji

Nie dotyczy.

Uwagi do proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka

Biorąc pod uwagę wyniki AE i BIA, zaproponowany RSS jest niewystarczający.



Uwagi do programu lekowego

Uwagi do programu lekowego zostały przedstawione w Analizie Weryfikacyjnej.

Omówienie rozwiązań proponowanych w analizie racjonalizacyjnej

Nie dotyczy.

Omówienie rekomendacji wydawanych w odniesieniu do ocenianej technologii

Rekomendacje kliniczne

Odnaleziono 3 rekomendacje kliniczne odnoszące się do wnioskowanego wskazania (PGSz 2025, NCCN 2025, EHA 2025) oraz 1 dotyczące wyłącznie terapii CAR-T (MWG 2024). W wytycznych Polskiej Grupy Szpiczakowej na rok 2025, w leczeniu pacjentów z PCM opornym na lenalidomid, rekomenduje się stosowanie trójkowych schematów terapeutycznych zawierających przeciwciała anty-CD38 (izatuksymab lub daratumumab) w połączeniu z karfilzomibem i deksametazonem (schematy IsaKD i DKd). Podkreślono, że schematy te wykazują większą skuteczność w porównaniu do alternatywnych, również zalecanych terapii, takich jak PVD, DVD oraz Kd. Ponadto, w ocenianej populacji pacjentów za najskuteczniejszą PGSz 2025 uznaje terapię CILTA-CEL. Zastosowanie CILTA-CEL w tej grupie pacjentów rekomendowane jest także przez wytyczne NCCN 2025 oraz EHA 2025.

Rekomendacje refundacyjne

Odnaleziono pozytywną rekomendację HAS 2025, pozytywną warunkową rekomendację CDA-AMC 2024 (jako warunek wskazano m.in. obniżenie kosztu terapii), pozytywną opinię IQWiG 2025, a także 1 wstrzymaną ocenę NICE 2023 (z uwagi na brak dokumentacji dowodowej od producenta leku). W rekomendacji HAS 2025 wskazano na konieczność pozyskania dodatkowych danych, celem ograniczenia niepewności dotyczących długoterminowego profilu bezpieczeństwa terapii CAR-T. Z kolei w opinii IQWiG 2025 wskazano, że istotna dodatkowa korzyść terapeutyczna została wykazana wyłącznie w populacji pacjentów po 1 do 3 wcześniejszych liniach leczenia, dla których odpowiednią opcję terapeutyczną stanowią schematy DPd lub PVD.

Według informacji przedstawionych przez wnioskodawcę produkt leczniczy Carvykti w ocenianym wskazaniu jest finansowany w 8 krajach UE i EFTA (na 30 wskazanych), a w

Podstawa przygotowania rekomendacji

Rekomendacja została przygotowana na podstawie zlecenia z dnia 23 września 2025 r. Ministra Zdrowia (znak pisma: PLR.4500.1831.2025.15.PRU), w sprawie przygotowania rekomendacji Prezesa dot. objęcia refundacją produktu leczniczego Carvykti, w ramach programu lekowego B.54. „Leczenie chorych na szpiczaka plazmocytoowego (ICD-10: C90.0)” 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 2025 r. poz. 907, z późn. zm.), po uzyskaniu stanowiska Rady Przejrzystości nr 191.

ZASTĘPCA PREZESA

Anna Kowalczyk

/dokument podpisany elektronicznie/

Piśmiennictwo

1. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 191.
2. Wniosek o objęcie refundacją leku Carvykti w ramach programu lekowego B.54. „Leczenie chorych na szpiczaka plazmocytoowego (ICD-10: C90.0)”. Analiza weryfikacyjna nr DPL.423.1.7.2025. Data ukończenia: 10 grudnia 2025 r.