Rekomendacja nr 157/2026
z dnia 21 października 2026 r.
Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
w sprawie objęcia refundacją produktu leczniczego Tibsovo (iwosydenib) w ramach programu lekowego B.114. „Leczenie chorych na ostrą białaczkę szpikową (ICD-10: C.92.0)”

Prezes Agencji rekomenduje objęcie refundacją produktu leczniczego Tibsovo (iwosydenib) w ramach programu lekowego B.114. „Leczenie chorych na ostrą białaczkę szpikową (ICD-10: C.92.0)” **pod warunkiem** obniżania ceny produktu leczniczego dążąc do efektywności kosztowej terapii oraz [redacted]

Uzasadnienie

Oceniane wskazanie dotyczy stosowania produktu leczniczego Tibsovo (iwosydenib) w skojarzeniu z azacytydyną (IVO+AZA) u dorosłych pacjentów z nowo rozpoznaną ostrą białaczką szpikową z mutacją IDH1 R132, którzy nie kwalifikują się do standardowej chemioterapii indukcyjnej. Produkt Tibsovo jest obecnie refundowany w Polsce w tym wskazaniu w ramach programu lekowego B.114 jako technologia lekowa o wysokim poziomie innowacyjności.

Wytyczne kliniczne uwzględniają IVO+AZA jako jedną z rekomendowanych opcji leczenia pacjentów z nowo rozpoznaną AML z mutacją IDH1, niekwalifikujących się do intensywnej chemioterapii. W wytycznych NCCN 2026 schemat ten wskazano jako opcję preferowaną, z najwyższą kategorią rekomendacji, na równi ze schematem wenetoklaks z azacytydyną (VEN+AZA). Jednocześnie w analizowanej populacji wytyczne wskazują także inne możliwości terapeutyczne, w tym AZA w monoterapii, schematy oparte na małych dawkach cytarabiny oraz najlepsze leczenie wspomagające.

Wnioskodawca jako komparator przyjął VEN+AZA.

Główne dane kliniczne dla IVO+AZA we wnioskowanym wskazaniu pochodzą z badania z randomizacją (RCT) AGILE, w którym wykazano przewagę IVO+AZA nad placebo z AZA (PLC+AZA) w zakresie przeżycia całkowitego (OS), przeżycia wolnego od zdarzeń (EFS) oraz odpowiedzi na leczenie. Ze względu na brak RCTs bezpośrednio porównujących IVO+AZA z VEN+AZA ocenę względnej skuteczności oparto na porównaniach pośrednich (NMA, MAIC), [redacted]. Wyniki te należy jednak interpretować z ostrożnością, w szczególności ze względu na różnice między badaniami w zakresie charakterystyki populacji i definicji punktów końcowych.

Wyniki dotyczące bezpieczeństwa wskazują, że IVO+AZA może wiązać się z niższym ryzykiem ciężkich zdarzeń niepożądanych względem VEN+AZA. Jednocześnie dane z badania AGILE nie wskazują na nowe istotne zastrzeżenia dotyczące bezpieczeństwa poza zwiększonym ryzykiem leukocytozy i wydłużenia odstępu QT.

Dane z rzeczywistej praktyki klinicznej (Lachowiez 2025), w których IVO w skojarzeniu z AZA lub DEC porównywano z VEN w skojarzeniu z AZA lub DEC wskazują, że stosowanie iwosydenibu wiązało się z IS wyższym odsetkiem pacjentów z 6-miesięcznym EFS i wyższymi odsetkami odpowiedzi na leczenie w porównaniu z VEN. Z kolei zgodnie z dodatkowymi informacjami wynikającymi z Raportu AOTMIT z oceny efektywności leczenia technologią lekową o wysokim poziomie innowacyjności, wyniki uzyskane w polskiej praktyce klinicznej były zasadniczo spójne z obserwacjami z badania AGILE, choć odnotowano niższe odsetki odpowiedzi całkowitej niż w badaniu AGILE.

Wyniki analizy ekonomicznej wskazują, że stosowanie iwosydenibu w analizowanej populacji nie jest efektywne kosztowo, oszacowana wartość ICUR wynosi ok. [redacted] w wariancie z RSS i przekracza ustawowy próg opłacalności. Ponadto, objęcie refundacją leku w ocenianym wskazaniu będzie wiązało się ze wzrostem wydatków płatnika publicznego, zgodnie z analizą wpływu na budżet, o ok. [redacted] w I roku oraz ok. [redacted] w II roku refundacji, aż do ok. [redacted] w VII roku refundacji, przy uwzględnieniu RSS. Należy jednak zaznaczyć, że mając na uwadze dotychczasową liczbę pacjentów leczonych iwosydenibem w PL B.114, nie można wykluczyć, iż przyjęte w analizie założenia dotyczące liczebności populacji docelowej prowadzą do zawyżenia prognozowanych wydatków inkrementalnych płatnika publicznego.

Biorąc pod uwagę dostępne dane kliniczne dotyczące stosowania IVO+AZA, miejsce ocenianej technologii w wytycznych klinicznych oraz dostępne dane z praktyki klinicznej, pomimo braku bezpośredniego porównania z VEN+AZA, niepewności dotyczącej względnej wielkości efektu, braku efektywności kosztowej oraz znacznym prognozowanym wzroście wydatków płatnika publicznego, uwzględniając pozytywne stanowisko Rady Przejrzystości, objęcie refundacją produktu leczniczego Tibsovo w ocenianym wskazaniu uznaje się za zasadne wyłącznie na warunkach określonych w sentencji.

Przedmiot wniosku

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy oceny zasadności finansowania ze środków publicznych produktu leczniczego Tibsovo (iwosydenib), tabletki powlekane, 250 mg, 60 tabl., GTIN: 03664898120737; proponowana cena zbytu netto: [redacted], wydawanego bezpłatnie w programie lekowym B.114 „Leczenie chorych na ostrą białaczkę szpikową (ICD-10: C.92.0)" w istniejącej grupie limitowej (1317.0, Iwosydenib).

Problem zdrowotny

Ostra białaczka szpikowa (AML) jest agresywnym nowotworem układu krwiotwórczego wywodzącym się z komórek prekursorowych linii mieloidalnej. Nieleczona prowadzi do zgonu zwykle w ciągu 2–3 miesięcy od rozpoznania. Choroba występuje głównie u osób starszych, a mediana wieku w chwili rozpoznania wynosi około 65 lat. Ostre białaczki stanowią ok. 40% wszystkich zachorowań na białaczki u dorosłych, z czego około 80% przypadków stanowi AML. Mutacje genu IDH1 występują u około 6–10% chorych na AML i wiążą się z gorszym rokowaniem, w tym krótszym przeżyciem całkowitym oraz niższym prawdopodobieństwem uzyskania remisji całkowitej. Zgodnie z danymi z lat 2014–2021 pacjenci w Polsce niekwalifikujący się do intensywnej chemioterapii (tzw. populacja UNFIT) stanowili ok. 42% wszystkich chorych na AML. Mimo postępów terapeutycznych AML pozostaje chorobą o niekorzystnym rokowaniu, a 5-letni wskaźnik przeżycia chorych wynosi około 32%.

W okresie od stycznia 2025 r. do września 2026 r. w ramach PL B.114 do leczenia iwosydenibem zakwalifikowanych zostało 78 pacjentów.

Alternatywna technologia medyczna

Wnioskodawca jako komparator dla ocenianej technologii, wskazał wenetoklaks stosowany w skojarzeniu z azacytydyną. Wybór komparatora uznano za zasadny.

Należy jednak zaznaczyć, że w wytycznych wymieniane są także inne opcje terapeutyczne, które mogą być stosowane w polskiej praktyce klinicznej w populacji pacjentów z AML niekwalifikujących się do intensywnej terapii indukcyjnej, tj. m.in. AZA w monoterapii, cytarabinę w małych dawkach (LDAC), oraz najlepsze leczenie wspomagające (BSC).

Opis wnioskowanego świadczenia

Iwosydenib należy do grupy inhibitorów dehydrogenazy izocytrynianowej (IDH).

Iwosydenib stosuje się doustnie raz na dobę w 28-dniowych cyklach (min. 6 cykli). Leczenie kontynuuje się do utraty korzyści klinicznych lub wystąpienia nietolerancji.

Wnioskowane wskazanie refundacyjne jest zgodne ze wskazaniem rejestracyjnym leku i obejmuje leczenie, w skojarzeniu z azacytydyną, dorosłych pacjentów z nowo rozpoznaną ostrą białaczką szpikową (ang. *acute myeloid leukaemia*, AML) z mutacją w genie kodującym dehydrogenazę izocytrynianu 1 (IDH1) R132, którzy nie są zakwalifikowani, aby otrzymać standardową chemoterapię indukcyjną.

Produkt leczniczy Tibsovo jest obecnie refundowany w Polsce w powyższym wskazaniu w ramach programu B.114., jako technologia lekowa o wysokim poziomie innowacyjności (TLI).

Ocena skuteczności (klinicznej oraz praktycznej) i bezpieczeństwa

Ze względu na brak badań z randomizacją (RCT) bezpośrednio porównujących IVO+AZA względem przyjętego komparatora tj. VEN+AZA, analizę oparto na wynikach porównań pośrednich (metaanaliza

sieciowa – NMA i MAIC dla oceny skuteczności; porównanie metodą Büchera dla oceny bezpieczeństwa). Kluczowe dane dla skuteczności klinicznej i bezpieczeństwa IVO+AZA we wnioskowanym wskazaniu pochodzą z RCT AGILE (fazy III; podwójnie zaślepione; mediana okresu obserwacji [OB] 28,6 mies.), w którym IVO+AZA porównano z placebo + AZA. Dla komparatora wykorzystano dane z RCT VIALE-A (fazy III; podwójnie zaślepione; mediana OB 43,2 mies.).

Do analizy Wnioskodawcy włączono także badanie RWE (Lachowiez 2025) oraz dwa przeglądy systematyczne Aiman 2023 oraz SLR 2023, natomiast Agencja uwzględniła dodatkowo również metaanalizę Wang 2024. Dodatkowym źródłem informacji jest także raport AOTMiT[1] dotyczący oceny efektywności leku przygotowany w związku z refundacją leku Tibsovo w ramach Funduszu Medycznego.

Skuteczność

IVO+AZA vs VEN+AZA

[redacted]

Wyniki badania z rzeczywistej praktyki klinicznej (Lachowiez 2025), w którym IVO+AZA lub DEC porównywano z VEN+AZA lub DEC (mediana OB odpowiednio 7,1 mies. oraz 8,8 mies.) wskazują, że stosowanie iwosydenibu w porównaniu do wenetoklaksu wiązało się z IS wyższym odsetkiem pacjentów z 6-miesięcznym EFS (55,8% vs 38,4%), a także wyższym odsetkiem chorych osiągających CR (43% vs 26%) oraz CR+CRi/p (63% vs 48%).

IVO+AZA vs PLC+AZA

W RCT AGILE odnotowano IS przewagę schematu IVO+AZA nad PLC+AZA w zakresie OS. Dla najdłuższej mediany okresu obserwacji (28,6 mies.) mediana OS wyniosła 29,3 mies. vs 7,9 mies. HR=0,42 (95%CI: 0,27; 0,65). IS różnice na korzyść ocenianej interwencji odnotowano także w zakresie EFS, ORR, CR oraz CR+CRh, które oceniano w krótszym okresie obserwacji tj. 12,4 mies.:

- EFS:
  - mediana EFS [mies.]: 0,03 vs 0,03[2]; HR=0,33 (95%CI: 0,16; 0,69);
  - 6-mies. EFS: 39,9% vs 20,3%;
  - 12-mies. EFS: 37,4% vs 12,2%;
  - 18-mies. EFS: 33,3% vs 6,1%;
- ORR: 63% vs 19%; RR= 3,30 (95%CI: 1,99; 5,47);
- CR: 47% vs 15%; RR=3,18 (95%CI: 1,75; 5,77);
- CR+CRh: 53% vs 18%; RR=3,0 (95%CI: 1,75; 5,15).

Czas do uzyskania odpowiedzi na leczenie (TTR) był porównywalny pomiędzy grupami leczenia, natomiast stosowanie IVO+AZA wiązało się z wydłużeniem czasu trwania odpowiedzi (DOR): mediana DOR dla ORR wynosiła 22,1 mies. vs 9,2 mies., natomiast dla CR oraz CR+CRh nie osiągnięto median DOR w grupie interwencji, z kolei w grupie kontrolnej wynosiły odpowiednio 11,2 mies. i 9,2 mies.

W ocenie ogólnego stanu zdrowia/jakości życia z zastosowaniem kwestionariusza EORTC-QLQ-C30, wykazano IS różnice na korzyść terapii iwosydenibem w 2., 7. i 9. cyklu leczenia oraz w zakresie zmęczenia w 7., 9. i 13. cyklu leczenia. Należy jednak podkreślić, że odsetek wypełnianych przez pacjentów kwestionariuszy zmniejszał się w kolejnych cyklach leczenia, a po 19. cyklu nie było dostępnych wyników oceny jakości życia wśród chorych, którzy otrzymywali PLC+AZA, co stanowi ograniczenie w interpretacji oceny HRQoL.

[1] https://bip.aotm.gov.pl/assets/files/Raportzocenyefektywno%C5%9BciTLI/Tibsovo%20-%20ocena%20efektywno%C5%9Bci_REOPTR.pdf [dostęp: 15.10.2026 r.]

[2] Jednakowe wartości mediany w obu grupach wynikały z przyjętej definicji niepowodzenia leczenia – przewagę ocenianej interwencji wykazano na podstawie współczynnika hazardu oraz wyższego prawdopodobieństwa EFS w kolejnych punktach czasowych

Bezpieczeństwo

IVO+AZA vs VEN+AZA

Wyniki porównania pośredniego wskazują, że stosowanie IVO+AZA wiąże się z IS niższym ryzykiem wystąpienia ciężkich zdarzeń niepożądanych (AEs) w porównaniu do leczenia VEN+AZA (68% vs 83%; RR=0,71 [95%CI: 0,57; 0,88]). Dla AE ogółem, AE ≥3. stopnia oraz AE prowadzących do przerwania leczenia nie odnotowano IS różnic między porównywanym leczeniem. W analizie szczegółowych zdarzeń odnotowano także IS niższe ryzyko wystąpienia epizodów gorączki neutropenicznej (28% vs 42%), zakażeń (35% vs 84%) oraz zaparć (32% vs 43%) u pacjentów leczonych IVO+AZA względem VEN+AZA.

W badaniu z rzeczywistej praktyki klinicznej (Lachowiez 2025) również zaobserwowano, że stosowanie IVO+AZA/DEC wiązało się z IS niższą częstością występowania gorączki neutropenicznej ≥3. stopnia względem VEN+AZA/DEC (2% vs 8%). Dla pozostałych ocenianych zdarzeń niepożądanych nie stwierdzono IS różnic pomiędzy grupami.

IVO+AZA vs PLC+AZA

W badaniu AGILE w grupie interwencji odnotowano IS niższą częstość występowania ciężkich AEs (68% vs 84%; RR=0,81 [95%CI: 0,67; 0,98]) oraz AEs prowadzących do zgonu (15% vs 31%; RR=0,49 [95%CI: 0,26; 0,93]). W przypadku pozostałych analizowanych AE, w tym tych uznanych za związane z leczeniem, różnice pomiędzy grupami nie były IS. W żadnej z grup nie zgłoszono TRAE prowadzących do zgonu.

Analiza szczegółowych AE wykazała, że stosowanie IVO+AZA wiązało się z IS niższym ryzykiem wystąpienia zaparć oraz osłabienia, przy jednoczesnym istotnym zwiększeniu ryzyka leukocytozy, wydłużenia odstępu QT, bólu głowy oraz wystąpienia krwiaków. Nie wykazano IS różnic w zakresie pozostałych analizowanych AE.

Dodatkowe informacje

Zgodnie z raportem AOTMiT dot. oceny leku Tibsovo na podstawie danych rzeczywistych w warunkach polskich (dane z SMPT; mediana OB od pierwszego podania leku ok. 13,5 mies.), mediana OS nie została osiągnięta, podczas gdy w RCT AGILE wyniosła ok. 29 mies. Mediana EFS wyniosła ok. 1,7 mies. w populacji polskiej oraz 0,03 mies. w badaniu AGILE. Prawdopodobieństwo pozostania bez zdarzenia było zbliżone do wyników badania AGILE w pierwszych 6 mies. obserwacji, natomiast po 9. i 12. mies. było niższe niż w badaniu klinicznym. Należy zwrócić uwagę, że ze względu na dostosowanie definicji EFS do zakresu danych dostępnych w SMPT wyniki te nie są w pełni porównywalne. Osiągnięte w warunkach polskich wartości ORR były zbliżone do wyników uzyskanych w badaniu AGILE (ok. 58% vs ok. 63%), natomiast odsetek pacjentów z całkowitą odpowiedzią (CR) oraz CR+CRh był niższy niż w badaniu rejestracyjnym (odpowiednio ok.: 35% vs 47% oraz 37% vs 53%). Wyniki te należy jednak interpretować z ostrożnością ze względu na niewielką liczebność populacji, wysoki odsetek pacjentów bez oceny odpowiedzi oraz adaptację definicji EFS.

Ograniczenia

Główne ograniczenia analizy wynikają z braku bezpośredniego porównania IVO+AZA z VEN+AZA, jak również z innymi opcjami terapeutycznymi refundowanymi w Polsce. Ocena względem komparatora została oparta na porównaniach pośrednich, których wyniki należy interpretować z ostrożnością m.in. ze względu na różnice w definicjach punktów końcowych, charakterystykę populacji (badanie dla VEN obejmowało szerszą populację, a dane dla pacjentów z mutacją IDH1 pochodziły z analizy podgrup).

W publikacji dot. badania RWD (Lachowiez 2025) nie przedstawiono szczegółowych informacji dotyczących dawkowania ocenianej interwencji, co uniemożliwia ocenę zgodności stosowanego schematu leczenia z dawkowaniem zalecanym w ChPL leku Tibsovo.

Szczegółowe ograniczenia zostały przedstawione w Analizie Weryfikacyjnej (AWA).

Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka

Ocena ekonomiczna, w tym szacunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

Przeprowadzono analizę kosztów użyteczności (CUA) w dożywotnim horyzoncie czasowym. Poniżej przedstawiono wyniki z perspektywy płatnika publicznego (NFZ).

Zgodnie z oszacowaniami Wnioskodawcy stosowanie IVO+AZA w miejsce VEN+AZA jest droższe i skuteczniejsze. Oszacowany ICUR wyniósł wariancie z RSS.

W związku z tym, że w analizie podstawowej Wnioskodawcy w wariancie bez uwzględnienia RSS przyjęto cenę komparatora na podstawie Obwieszczenia MZ, za analizę podstawową Agencja uznała wariant analizy wrażliwości uwzględniający jego rzeczywistą cenę, w którym ICUR wyniósł

Wartości ICUR przekraczają próg opłacalności (244 821 zł/QALY) o którym mowa w ust. o refundacji.

Progowa cena zbytu netto produktu leczniczego Tibsovo, oszacowana przez analityków Agencji na podstawie arkusza obliczeniowego Wnioskodawcy, wynosi

Ograniczenia

Główne ograniczenia analizy wynikają z ograniczeń analizy klinicznej, na której oparto oszacowania. Inne niepewności analizy wynikają m.in. z konieczności długoterminowej ekstrapolacji efektów zdrowotnych poza okres obserwacji dostępny w badaniach klinicznych, jak również

Obliczenia własne Agencji

[redacted]

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.)

W ocenie Agencji zachodzą okoliczności art. 13 ust. 3 ustawy o refundacji.

Oszacowana przez Wnioskodawcę wartość urzędowej ceny zbytu produktu leczniczego Tibsovo, przy której koszt jego stosowania byłby równy kosztowi stosowania komparatora wynosi w wariancie bez RSS. Jednocześnie należy zaznaczyć, że Wnioskodawca wskazał, że w wariancie z RSS

Obliczenia własne Agencji

Zdaniem analityków Agencji ceny leku Tibsovo wynikające z art. 13 ustawy o refundacji, zostały oszacowano przez Wnioskodawcę nieprawidłowo. W związku z powyższym, Agencja przedstawiła własne oszacowania [redacted]

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

Analiza wpływu na budżet została przeprowadzona w 7-letnim horyzoncie czasowym, z perspektywy płatnika publicznego (NFZ).

Oszacowano liczbę pacjentów stosujących wnioskowaną technologię w scenariuszu nowym na pacjentów w I roku, pacjentów w II, pacjentów w II, pacjentów w IV, pacjentów w V, pacjentów w VI oraz pacjentów w VII roku refundacji.

Wyniki analizy wskazują, że w przypadku podjęcia pozytywnej decyzji o kontynuacji finansowania iwosydenibu ze środków publicznych , nastąpi wzrost wydatków płatnika publicznego o w wariancie uwzględniającym RSS.

W przypadku wariantu bez uwzględnienia RSS, przyjętego przez analityków Agencji za podstawowy, kontynuacja refundacji (poza Funduszem Medycznym) będzie wiązała się ze wzrostem wydatków od ok. PLN w I roku i ok. w II roku, aż do ok. PLN w VII roku refundacji.

Składowa kosztu, stanowiąca kwotę refundacji produktu leczniczego Tibsovo w wariancie z RSS wynosi ok. [redacted] w I roku i ok. [redacted] w II roku analizy, a w VII roku analizy ok. [redacted]

Ograniczenia

Głównym źródłem niepewności analizy są założenia dotyczące prognozowanych udziałów rynkowych i brak analizy wrażliwości w tym zakresie, jak również brak uwzględnienia innych dostępnych opcji terapeutycznych w populacji docelowej. Inne ograniczenia wynikają przede wszystkim z ograniczeń analizy ekonomicznej.

Obliczenia własne Agencji

[redacted]

Uwagi do proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka

[redacted]

Uwagi do programu lekowego

Bez uwag.

Omówienie rozwiązań proponowanych w analizie racjonalizacyjnej

Nie dotyczy.

Omówienie rekomendacji wydawanych w odniesieniu do ocenianej technologii

Rekomendacje kliniczne

Przeanalizowano 4 dokumenty wytycznych klinicznych odnoszących się do wnioskowanego wskazania: polskie – PTOK 2020, europejskie – ELN 2022 oraz amerykańskie – NCCN 2026, ASH 2026.

Wytyczne PTOK 2020 zostały opublikowane przed rejestracją iwosydenibu. Zagraniczne wytyczne praktyki klinicznej (ELN 2022, ASH 2025, NCCN 2026) uwzględniają iwosydenib jako rekomendowaną opcję terapeutyczną u pacjentów z nowo rozpoznaną AML i mutacją IDH1, niekwalifikujących się do intensywnej chemioterapii. W większości zaleceń preferowanym schematem jest stosowanie IVO w skojarzeniu z azycytydyną, natomiast u wybranych pacjentów możliwe jest również zastosowanie IVO w monoterapii (ELN 2022).

Wytyczne NCCN 2026 kwalifikują schemat AZA+IVO do preferowanych opcji leczenia z najwyższą kategorią rekomendacji (kategoria 1), na równi ze schematem AZA+VEN. Również wytyczne ASH 2025 wskazują na zasadność stosowania AZA+IVO zamiast AZA w monoterapii oraz uznają schematy oparte na IVO lub VEN za właściwe u pacjentów z AML i mutacją IDH1.

Wytyczne ELN 2022 i NCCN 2026 jako inne alternatywne opcje terapeutyczne wskazują schematy DEC+VEN oraz LDAC+VEN. W wytycznych NCCN 2026 u wybranych pacjentów uwzględniono również olutasidenib (OLU). Ponadto zarówno międzynarodowe i polskie wytyczne, jako opcje terapeutyczne dla pacjentów niekwalifikujących się do intensywnej chemioterapii wymieniają leczenie hipometylujące (AZA, DEC) oraz małe dawki cytarabiny (LDAC) w monoterapii, a także leczenie wspomagające (BSC).

Rekomendacje refundacyjne

Odnaleziono jedną rekomendację pozytywną (HAS 2023), dwie rekomendacje pozytywne warunkowo (NICE 2024, CDA-AMC 2024) oraz jedną ocenę dodatkowej korzyści (G-BA 2026).

W rekomendacjach podkreślano korzyści kliniczne ze stosowania IVO+AZA m.in. w zakresie wydłużenia przeżycia pacjentów oraz czasu do progresji choroby w porównaniu do monoterapii AZA. Jednocześnie wskazywano na niepewność wynikającą z braku bezpośrednich badań porównujących IVO+AZA ze schematem VEN+AZA, uznawanym za istotny komparator w analizowanej populacji. W rekomendacjach NICE oraz CDA-AMC zwrócono uwagę na wysokie koszty terapii i jako warunek refundacji wskazano konieczność obniżenia ceny. W ocenie G-BA nie wykazano dodatkowej korzyści stosowania IVO+AZA względem terapii porównawczych (VEN+AZA/VEN+DEC) z powodu braku odpowiednich danych umożliwiających jej ocenę.

Według informacji przedstawionych przez Wnioskodawcę produkt leczniczy Tibsovo (iwosydenib) w AML jest finansowany w 18 krajach UE i EFTA (na 30 wskazanych),

Podstawa przygotowania rekomendacji

Rekomendacja została przygotowana na podstawie zlecenia z dnia 10 sierpnia 2026 r. Ministra Zdrowia (znak pisma: PLR.4500.1256.2026.2.PRU), w sprawie przygotowania rekomendacji Prezesa w sprawie objęcia refundacją produktu leczniczego Tibsovo (iwosydenib) w ramach programu lekowego B.114. „Leczenie chorych na ostrą białaczkę szpikową (ICD-10: C92.0)", 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 151/2026.

Piśmiennictwo

1. Wniosek o objęcie refundacją leku Tibsovo (iwosydenib) w ramach programu lekowego B.114. „Leczenie chorych na ostrą białaczkę szpikową (ICD-10: C.92.0)". Analiza weryfikacyjna OTLI.4131.6.2026.
2. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 151/2026.