Rekomendacja nr 184/2026
z dnia 20 listopada 2026 r.
Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
w sprawie objęcia refundacją produktu leczniczego Scemblix (asciminib) w ramach programu lekowego B.14 „Leczenie chorych na przewlekłą białaczkę szpikową (ICD-10 C92.1)”

Prezes Agencji nie rekomenduje objęcia refundacją produktu leczniczego Scemblix (asciminib) w programie lekowym B.14 „Leczenie chorych na przewlekłą białaczkę szpikową (ICD-10 C92.1)”.

Uzasadnienie

Oceniany wniosek dotyczy objęcia refundacją produktu leczniczego Scemblix (asciminib, ASC) w leczeniu dorosłych pacjentów z przewlekłą białaczką szpikową z chromosomem Philadelphia w fazie przewlekłej (Ph+ CML-CP) i bez mutacji T315I, nowo rozpoznaną i kwalifikującą się do leczenia I linii lub wcześniej leczonych jedną linią terapii, w ramach programu lekowego B.14 „Leczenie chorych na przewlekłą białaczkę szpikową (ICD-10 C92.1)”. Wnioskowane wskazanie stanowi rozszerzenie dotychczas refundowanego wskazania dla asciminibu, które obejmuje leczenie dorosłych pacjentów z Ph+ CML-CP, leczonych wcześniej ≥ 2 inhibitorami kinazy tyrozynowej (TKI).

Najnowsze wytyczne kliniczne zgodnie wskazują, że podstawą leczenia I i II linii pacjentów z Ph+ CML-CP jest terapia z wykorzystaniem TKI – pierwszej (imatynib), drugiej (dazatynib, nilotynib i bosutynib) lub czwartej generacji (inhibitor allosteryczny – asciminib).

Wnioskodawca jako komparator dla ocenianej technologii wskazał imatynib, bosutynib, nilotynib (w I i II linii leczenia) oraz dazatynib (wyłącznie w II linii leczenia), natomiast ich zastosowanie zależy m.in. od wcześniejszej terapii TKI.

Podstawę oceny skuteczności asciminibu w I linii leczenia stanowiło badanie z randomizacją (RCT) III fazy ASC4FIRST, bezpośrednio porównujące asciminib z TKI wybranym przez badacza, natomiast w II linii, z uwagi na brak bezpośrednich badań RCT, głównym źródłem danych porównawczych było retrospektywne badanie RWE Atallah 2025b. W I linii leczenia asciminib wykazał przewagę nad łącznie analizowanymi TKI przede wszystkim w zakresie odpowiedzi molekularnej (MMR) oraz przeżycia wolnego od zdarzeń (EFS; zdarzeń tj. progresja, zgon niepowodzenie leczenia, utrata MMR, przerwanie terapii z powodu zdarzeń niepożądanych), przy braku istotnych sygnałów dotyczących bezpieczeństwa. Względem TKI II generacji przewaga asciminibu w zakresie MMR nie została formalnie potwierdzona. Interpretacja wyników badania ASC4FIRST wymaga jednak ostrożności ze względu na niedojrzałość danych dotyczących przeżycia całkowitego (OS) i przeżycia wolnego od progresji (PFS) oraz oparcie oceny skuteczności przede wszystkim na zastępczych punktach końcowych. W II linii dostępne dane wskazują na korzystny kierunek efektu, jednak ich wiarygodność istotnie ograniczają brak randomizacji, retrospektywny charakter danych oraz brak możliwości przeprowadzenia wiarygodnego porównania pośredniego z refundowanymi komparatorami. Dostępne dane kliniczne wskazują zatem na potencjalną korzyść kliniczną ze stosowania asciminibu, jednak wskazane ograniczenia oraz niepewność dostępnych dowodów nie pozwalają na wiarygodne określenie wielkości względnej korzyści ASC względem poszczególnych refundowanych komparatorów, w szczególności w II linii leczenia.

W ramach oceny ekonomicznej przeprowadzono analizę kosztów-użyteczności (CUA), łącznie dla I i II linii leczenia. Zgodnie z oszacowaniami Wnioskodawcy stosowanie ASC w miejsce wszystkich uwzględnionych komparatorów jest droższe i skuteczniejsze. Oszacowane wartości ICUR znajdują się powyżej progu opłacalności.

Wyniki analizy wpływu na budżet wnioskodawcy (łącznie dla I i II linii leczenia) w wariancie z RSS, wskazują na [redacted] wydatków płatnika publicznego zarówno w I, jaki i II roku refundacji – [redacted].

Uwzględniając dostępność alternatywnych refundowanych opcji terapeutycznych, znaczne ograniczenia analizy klinicznej tj. niepewność dotycząca względnych korzyści klinicznych asciminibu, szczególnie w II linii leczenia oraz oparcie oceny skuteczności przede wszystkim na zastępczych punktach końcowych, dostępne dowody nie uzasadniają w wystarczającym stopniu ponoszenia dodatkowych kosztów związanych z finansowaniem asciminibu. Niepewność wnioskowania zwiększa dodatkowo brak możliwości wyodrębnienia wyników analiz ekonomicznej i wpływu na budżet dla poszczególnych linii leczenia, pomimo zróżnicowanego zakresu i jakości dostępnych dla nich dowodów klinicznych. W związku z powyższym, przychylając się do stanowiska Rady Przejrzystości, Prezes Agencji nie rekomenduje finansowania produktu leczniczego Scemblix.

Przedmiot wniosku

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy oceny zasadności finansowania ze środków publicznych produktu leczniczego Scemblix, asciminib:

- tabletki powlekane, 20 mg, 60 szt., GTIN: 07613421131616, cena zbytu netto:
- tabletki powlekane, 40 mg, 60 szt., GTIN: 07613421131623, cena zbytu netto:

w programie lekowym B.14 „Leczenie chorych na przewlekłą białaczkę szpikową (ICD-10 C92.1)". Proponowana odpłatność i kategoria dostępności refundacyjnej: bezpłatnie, w programie lekowym, w ramach istniejącej grupy limitowej (1288.0, Asciminib).

Problem zdrowotny

Przewlekła białaczka szpikowa (CML; ICD:10: C92.1) powstaje w wyniku klonalnego rozrostu stransformowanej nowotworowo komórki hematopoetycznej. Charakterystyczną cechą genetyczną nieprawidłowych komórek jest obecność chromosomu Philadelphia (Ph), stanowiącego produkt wzajemnej translokacji ramion długich chromosomów 9 i 22. Skutkiem jest także powstanie genu fuzyjnego BCR::ABL1, którego produktem jest białko BCR-ABL1 wykazujące stałą aktywność kinazy tyrozynowej.

U około połowy pacjentów objawy rozpoznaje się przypadkowo, badając morfologię krwi. Najczęstszymi zgłaszanymi symptomami są osłabienie, utrata masy ciała lub poty nocne. U ponad 50% pacjentów w momencie diagnozy odnotowuje się powiększenie śledziony; rzadsze objawy obejmują leukostazę, ból mostka, dnę moczanową, krwawienia i zakrzepicę. Około 90% pacjentów otrzymuje diagnozę w fazie przewlekłej białaczki (CP). Kolejne stadia choroby obejmują fazę akceleracji (AP) i fazę przełomu blastycznego/kryzy blastycznej (BC), które odznaczają się złym rokowaniem.

CML stanowi ok. 15% rozpoznawanych białaczek. Roczna zapadalność w Europie wynosi średnio 1,02 na 100 tysięcy osób, natomiast w Polsce ok. 0,72 na 100 tysięcy osób. Częściej chorują mężczyźni, a szczyt liczby zachorowań przypada na wiek 40-50 lat.

Alternatywna technologia medyczna

Wnioskodawca jako komparator dla ocenianej technologii wskazał imatynib, bosutynib, nilotynib (w I i II linii leczenia) oraz dazatynib (wyłącznie w II linii leczenia), natomiast ich zastosowanie zależy m.in. od wcześniejszej terapii TKI. W opinii Agencji wybór komparatorów jest zasadny i zgodny z aktualną praktyką kliniczną.

Opis wnioskowanego świadczenia

Asciminib jest silnym inhibitorem kinazy białkowej ABL/BCR::ABL1. Asciminib hamuje działanie kinazy ABL1 w białku fuzyjnym BCR::ABL1 i jest ukierunkowany swoiście na kieszeń mirystoilową ABL.

Zgodnie z Charakterystyką Produktu Leczniczego (ChPL) Scemblix przeznaczony jest m.in. do leczenia dorosłych pacjentów z przewlekłą białaczką szpikową w fazie przewlekłej z chromosomem Philadelphia.

Wnioskowane wskazanie refundacyjne zawiera się we wskazaniu rejestracyjnym, natomiast jest ono zawężone kryteriami kwalifikacji do PL obejmującymi m.in. brak mutacji T315I, nowo rozpoznaną, oporną lub nawrotową przewlekłą białaczką szpikową albo nietolerancję wcześniejszego leczenia inhibitorem/inhibitorami kinazy tyrozynowej.

Aktualnie produkt Scemblix jest objęty refundacją w PL B.14 u pacjentów z Ph+ CML-CP po co najmniej dwóch liniach leczenia z zastosowaniem TKI.

Zgodnie z ChPL, zalecana dawka dobowa produktu leczniczego Scemblix w przypadku Ph+ CML-CP wynosi 80 mg i może być przyjmowana doustnie raz na dobę, lub dwa razy na dobę w dawce po 40 mg. Leczenie należy kontynuować tak długo, jak długo obserwuje się korzyści kliniczne lub do wystąpienia nieakceptowalnej toksyczności.

Ocena skuteczności (klinicznej oraz praktycznej) i bezpieczeństwa

Analizę kliniczną wnioskodawcy dla asciminibu w leczeniu dorosłych pacjentów z Ph+ CML-CP przedstawiono osobno dla I i II linii leczenia. Dla I linii podstawę oceny stanowiło otwarte badanie z randomizacją (RCT) III fazy ASC4FIRST (N=405), porównujące asciminib z TKI wybranym przez badacza (IS-TKI), obejmującym imatynib lub TKI II generacji. Pozostałe badania, w tym RCT ASC4START, badania jednoramienne oraz dane rzeczywistej praktyki klinicznej (RWE), miały charakter wspierający. Dla II linii leczenia nie odnaleziono RCT bezpośrednio porównującego ASC z refundowanymi komparatorami; podstawowym źródłem danych porównawczych było retrospektywne badanie RWE Atallah 2025b, uzupełnione badaniami jednoramiennymi i analizą modelową Sy 2026.

Skuteczność

I linia leczenia

W RCT ASC4FIRST w grupie ASC obserwowano istotnie statystycznie (IS) wyższe prawdopodobieństwo przeżycia wolnego od zdarzeń (EFS) niż w grupie IS-TKI. Po 96 tyg. zdarzenie składające się na EFS wystąpiło u ok. 14% pacjentów leczonych ASC i 29% pacjentów leczonych IS-TKI (RR=0,49 [95% CI: 0,33; 0,73]). Wyniki z dłuższego okresu leczenia (144 tyg.), pomimo niewielkiej grupy badawczej, także wskazują na większe względne prawdopodobieństwo pozostawania wolnym od zdarzeń w grupie ASC. Zbliżone wyniki odnotowano także w analizie uwzględniającej porównanie z imatynibem i TKI II generacji. Należy jednak zaznaczyć, że EFS obejmował poza progresją i zgonem, również niepowodzenie leczenia, utratę głównej odpowiedzi molekularnej (MMR) oraz przerwanie terapii z powodu zdarzeń niepożądanych. Obserwowanej różnicy w EFS nie można zatem utożsamiać z analogiczną redukcją ryzyka progresji lub zgonu. Dane dotyczące przeżycia wolnego od progresji i przeżycia całkowitego pozostają natomiast niedojrzałe.

IS przewagę ASC nad łącznie analizowanymi IS-TKI odnotowano także w zakresie MMR (w 96. tyg.: 74% vs 52%; różnica 22,4 p.p. [95% CI: 13,6; 31,3]). Przewagę wykazano również względem imatynibu. Dane po 144 tyg. wskazują na utrzymywanie się korzystnego efektu w zakresie MMR, przy ograniczonej liczbie pacjentów pozostających w obserwacji w późnym okresie. Porównanie z TKI II generacji w 48. tyg. nie wykazało istotnej statystycznie różnicy, natomiast wynik po 96 tyg. nie był objęty hierarchiczną procedurą testowania i nie może być traktowany jako formalne potwierdzenie wyższości ASC.

Wyniki dotyczące jakości życia wskazują na IS korzystniejszy profil ASC względem IS-TKI w wybranych domenach kwestionariuszy EORTC QLQ-C30 i EORTC QLQ-CML24. Nie wykazano jednak jednoznacznej korzyści we wszystkich ocenianych aspektach wpływających na jakość życia.

II linia leczenia

Dla pacjentów leczonych wcześniej jednym TKI nie odnaleziono RCT bezpośrednio porównujących ASC z refundowanymi technologiami alternatywnymi. W retrospektywnym badaniu RWE Atallah 2025b stosowanie ASC wiązało się z wyższym odsetkiem MMR w 48. tyg. (68% vs 58%) oraz pogłębionej odpowiedzi molekularnej MR4 (41% vs 21%) w porównaniu ze zbiorczo analizowanymi TKI. Wyniki wskazują na korzystny kierunek efektu, jednak ich interpretację ograniczają brak randomizacji, a co za tym idzie możliwość wpływu niezmierzonych czynników zakłócających, retrospektywny charakter badania oraz heterogeniczna grupa kontrolna obejmująca różne TKI.

Jednoramienne badanie ASC2ESCALATE dostarcza danych wspierających aktywność ASC po jednym wcześniejszym TKI. W analizie modelowej Sy 2026 przewidywany odsetek MMR w II linii wynosił 61–67% w 48. tyg. oraz 70–76% w 96. tyg., zależnie od przyczyny zmiany wcześniejszej terapii. Wyniki te mają charakter wspierający i nie zastępują bezpośredniego badania porównawczego w tej populacji.

Bezpieczeństwo

I linia leczenia

W RCT ASC4FIRST częstość występowania zdarzeń niepożądanych (AE) była zbliżona we wszystkich ramionach badania. W analizie 96-tygodniowej AE ≥3. stopnia odnotowano u 45% pacjentów leczonych ASC i 55% otrzymujących IS-TKI, a AE do przerwania leczenia odpowiednio u 5% i 13%. Nie odnotowano zgonów związanych z leczeniem. Dłuższa, 144-tygodniowa obserwacja nie wskazała na nowe kategorie zdarzeń zmieniające ogólną ocenę bezpieczeństwa.

II linia leczenia

W RWE Atallah 2025b u pacjentów stosujących ASC rzadziej obserwowano przerwanie leczenia z dowolnej przyczyny niż zbiorczo analizowane TKI (4,6% vs 13,0%) oraz rzadziej przerwano lub modyfikowano leczenie z powodu nietolerancji.

Ograniczenia

Głównym ograniczeniem analizy jest brak RCT bezpośrednio porównujących ASC z komparatorami w II linii leczenia, jak również brak możliwości przeprowadzenia wiarygodnego porównania pośredniego w tym zakresie. W konsekwencji wiarygodność wnioskowania w oparciu o dane niższej jakości jest istotnie ograniczona. Kluczowym ograniczeniem wnioskowania dla I linii leczenia jest z kolei oparcie oceny skuteczności przede wszystkim na zastępczych punktach końcowych dotyczących odpowiedzi molekularnej. Ponadto, zbiorcza analiza TKI II generacji ogranicza możliwość oceny skuteczności i bezpieczeństwa ASC względem poszczególnych substancji.

Pozostałe ograniczenia zostały przedstawione w Analizie Weryfikacyjnej Agencji (AWA).

Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka

Zaproponowano instrument dzielenia ryzyka (RSS) polegający na

Ocena ekonomiczna, w tym szacunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

Wnioskodawca przeprowadził analizę kosztów-użyteczności (CUA) w dożywotnim (40 lat) horyzoncie czasowym. ASC porównano z:

– imatynibem, bosutynibem i nilotynibem – w ramach I linii leczenia,
– imatynibem, bosutynibem, dazatynibem i nilotynibem – w ramach II linii leczenia,

przy czym wyniki przedstawiono wyłącznie sumarycznie dla I i II linii, bez możliwości ich wydzielenia.

Poniżej zaprezentowane wyniki analizy z perspektywy płatnika publicznego (NFZ).

Zgodnie z oszacowaniami Wnioskodawcy stosowanie ASC w miejsce wszystkich komparatorów jest skuteczniejsze i droższe,

Wartości ICUR w wariancie uwzględniającym RSS wynoszą:

W wariancie bez RSS ICUR wynosi od ok. 940 tys. PLN/QALY do ok. 1,03 mln PLN/QALY.

Wartości ICUR znajdują się powyżej progu opłacalności, o którym mowa w ustawie o refundacji.

Progowe ceny zbytu netto (CZN), po korekcie Agencji, leku wynoszą – dla opakowania 40 mg i 20 mg – odpowiednio:

Oszacowane ceny progowe są niższe od wnioskowanej CZN.

Dodatkowo, Wnioskodawca przeprowadził analizę techniką minimalizacji kosztów (CMA) dla II linii leczenia, w horyzoncie czasowym 15,71 roku. Zgodnie z oszacowaniami Wnioskodawcy z uwzględnieniem RSS stosowanie ASC jest

Ograniczenia

Istotnym ograniczeniem jest brak możliwości wnioskowania o efektywności kosztowej leku w poszczególnych liniach leczenia – . Powyższe znacznie ogranicza wiarygodne wnioskowanie

w pełnym zakresie. Ponadto, Wnioskodawca przestawił oszacowania cen progowych, które zdaniem analityków Agencji były niewłaściwe i wymagały korekty.

Pozostałe ograniczenia zostały przedstawione w AWA.

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 2026 r. poz. 253, z późn. zm.)

W opinii analityków Agencji zachodzą okoliczności art. 13 ust. 3 ustawy o refundacji. Wnioskodawca nie przedstawił RCTs dowodzących wyższości technologii wnioskowanej nad refundowaną technologią medyczną w II linii leczenia CML-CP.

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy

Obliczenia własne Agencji

Analitycy Agencji przeprowadzili obliczenia własne,

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

Analiza wpływu na budżet została przeprowadzona w 2-letnim horyzoncie czasowym z perspektywy płatnika publicznego (NFZ), natomiast analizę z perspektywy wspólnej (NFZ+pacjent) ujęto w ramach analizy wrażliwości. Wyniki analizy przedstawiono wyłącznie sumarycznie dla I i II linii, bez możliwości ich wydzielenia.

Oszacowano liczbę pacjentów stosujących wnioskowaną technologię w scenariuszu nowym (pacjenci rozpoczynający terapię lekiem Scemblix) na pacjentów w I roku i w II roku refundacji w ramach I linii leczenia oraz pacjentów w I roku i w II roku refundacji w ramach II linii leczenia.

Wyniki analizy wnioskodawcy wskazują, że objęcie refundacją leku Scemblix spowoduje:

– wydatków płatnika publicznego w wariancie z RSS:
  - w I roku refundacji,
  - w II roku refundacji;
– wzrost wydatków płatnika publicznego w wariancie bez RSS:
  - ok. 40,48 mln PLN w I roku refundacji,
  - ok. 107,76 mln PLN w II roku refundacji.

Składowa kosztu, stanowiąca kwotę refundacji produktu leczniczego Scemblix w wariancie podstawowym analizy z RSS wynosi odpowiednio w I i II roku.

Ograniczenia

Istotnym ograniczeniem analizy jest przedstawienie wyników wyłącznie łącznie dla I i II linii leczenia, pomimo niepewności dotyczących skuteczności klinicznej asciminibu względem komparatorów w II linii, co ogranicza możliwość adekwatnego wnioskowania. Dodatkową niepewność stanowią oszacowania liczebności populacji docelowej oraz założenia dotyczące udziału rynkowego, oparte na opiniach ekspertów klinicznych ankietowanych przez Wnioskodawcę i danych dotyczących stopnia przejęcia rynku niemieckiego.

Obliczenia własne Agencji

Analitycy Agencji przeprowadzili obliczenia własne, oraz alternatywne dane wejściowe i założenia dotyczące liczby pacjentów kwalifikowanych do leczenia asciminibem.

Uwagi do proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka

Uwagi do programu lekowego

Należy zwrócić uwagę, że w ramach niniejszego wniosku poza rozszerzeniem dotychczas refundowanego wskazania dla asciminibu, jednocześnie zaproponowano ujednolicenie zapisów PL (dla rozszerzonego wskazania, jak i dotychczas refundowanego) – poprzez dodanie kryterium włączenia „*brak mutacji T315I*". Dotychczasowe zapisy PL nie wskazywały wprost wśród kryteriów kwalifikacji powyższego, a wyłączenie pacjentów z mutacją T315I wynikało wyłącznie pośrednio z zapisów dotyczących dawkowania asciminibu.

Ponadto należy wskazać, że konstrukcja zapisów PL wymaga spełnienia kryterium braku mutacji T315I w odniesieniu zarówno do nowo rozpoznanej przewlekłej białaczki szpikowej, jak i do opornej lub nawrotowej przewlekłej białaczki szpikowej, albo nietolerancji wcześniejszego leczenia TKI. Jednocześnie, w ramach badań przy kwalifikacji dla terapii asciminibem wskazano obowiązkowo badanie mutacji T315I w domenie kinazy BCR::ABL1 (a badanie mutacji w domenie kinazy BCR::ABL1 w przypadku oporności na poprzednio stosowany inhibitor kinazy tyrozynowej). Do rozważenia pozostaje zasadność obowiązkowego oznaczania mutacji T315I przy kwalifikacji również pacjentów z nowo rozpoznaną CML-CP.

Omówienie rozwiązań proponowanych w analizie racjonalizacyjnej

Nie dotyczy.

Omówienie rekomendacji wydawanych w odniesieniu do ocenianej technologii

Rekomendacje kliniczne

Odnaleziono cztery dokumenty wytycznych klinicznych dotyczące leczenia Ph+ CML-CP – polskie (PTOK 2020), europejskie (ELN 2025) oraz amerykańskie (NCCN 2026, NCI 2025).

Najbardziej aktualne wytyczne wskazują, że podstawą leczenia I i II linii pacjentów z Ph+ CML-CP jest terapia z wykorzystaniem inhibitorów kinazy tyrozynowej (TKI) pierwszej (imatynib), drugiej (dazatynib, nilotynib i bosutynib) lub czwartej generacji (inhibitor allosteryczny – asciminib). Europejskie wytyczne wskazują, że wykorzystanie asciminibu w I linii leczenia ogranicza dostępność i opłacalność, stanowi on jednak użyteczny wybór pierwszego rzutu.

Wybór odpowiedniego leku zależy od obecności specyficznych mutacji w BCR::ABL1, wieku pacjenta, obciążenia chorobami współistniejącymi oraz dotychczas stosowanej terapii.

Rekomendacje refundacyjne

Odnaleziono 3 rekomendacje refundacyjne dla asciminibu: pozytywną – francuską HAS 2026 (populacja z nowozdiagnozowaną lub leczoną uprzednio jednym TKI Ph+ CML-CP); pozytywną warunkową – kanadyjską CDA-AMC 2025 (populacja z nowozdiagnozowaną Ph+ CML-CP); negatywna – kanadyjską CDA-AMC 2026 (populacja z leczoną uprzednio jednym TKI Ph+ CML-CP). Ponadto, zidentyfikowano niemiecką ocenę G-Ba 2026, w której wskazano na prawdopodobną znaczną dodatkową korzyść kliniczną w populacji pacjentów z nowozdiagnozowaną Ph+ CML-CP (I linia) oraz brak udowodnionej dodatkowej korzyści klinicznej w populacji pacjentów leczonych wcześniej TKI (II linia).

W rekomendacjach pozytywnej i warunkowo pozytywnej zwrócono uwagę na obserwowane korzyści kliniczne w zakresie MMR względem imatynibu oraz korzystny profil bezpieczeństwa, jednocześnie podkreślano niepewność wnioskowania w ramach porównania względem TKI II generacji. Warunek obejmował obniżenie ceny leku oraz stosowania wskazanych kryteriów realizacji terapii (m.in. włączenia: ECOG 0-1 [ECOG ≥2 jest możliwe wedle uznania lekarza prowadzącego]; wykluczenia: zespołu długiego QT, obecności mutacji T315I lub V299L). W rekomendacji negatywnej odniesiono się do niepewności dowodów z uwagi na brak grupy kontrolnej, krótki czas trwania badania i niedojrzałość danych, jak również brak porównań pośrednich z innymi dostępnymi technologiami.

Według informacji przedstawionych przez wnioskodawcę produkt leczniczy Scemblix (asciminib) jest finansowany w 4 krajach UE i EFTA na 30 wskazanych (Austria, Liechtenstein, Niemcy i Szwajcaria).

Podstawa przygotowania rekomendacji

Rekomendacja została przygotowana na podstawie zlecenia z dnia 27.08.2026 r. Ministra Zdrowia (znak pisma: PLR.4500.866.2026.21.PRU, PLR.4500.867.2026.21.PRU), w sprawie przygotowania rekomendacji Prezesa w sprawie objęcia refundacją produktu Scemblix (asciminib) w ramach programu lekowego: B.14 „Leczenie chorych na przewlekłą białaczkę szpikową (ICD-10 C92.1)" 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 2026 r. poz. 253), po uzyskaniu stanowiska Rady Przejrzystości nr 177/2026.

Piśmiennictwo

1. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 177/2026.
2. Wniosek o objęcie refundacją leku Scemblix (asciminib) we wskazaniu: leczenie dorosłych pacjentów z przewlekłą białaczką szpikową z chromosomem Philadelphia w fazie przewlekłej (Ph+ CML-CP) i bez mutacji T315I, kwalifikujących się do leczenia I i II linii, w ramach programu lekowego B.14 „Leczenie chorych na przewlekłą białaczkę szpikową (ICD-10 C92.1)". Analiza weryfikacyjna OTAP.4131.11.2026. Data ukończenia: 4 listopada 2026 r.