



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 218/2016 z dnia 1 sierpnia 2016 roku

w sprawie zasadności wprowadzenia zmian w opisie programu lekowego „Leczenie przewlekłej białaczki szpikowej (ICD-10 C92.1)”

*Rada Przejrzystości uważa, że proponowane zmiany zapisów programu lekowego „Leczenie przewlekłej białaczki szpikowej (ICD-10 C92.1)” są zasadne i nie wpłyną na liczebność populacji pacjentów leczonych w ramach w/w programu.*

#### Uzasadnienie

*Zadaniem Rady Przejrzystości było przygotowanie opinii oceniającej zasadność wprowadzenia w programie lekowym „Leczenie przewlekłej białaczki szpikowej” zmian zaproponowanych przez firmę Novartis, która jest producentem leku Tasigna (nilotynib). Lek ten jest drugiej generacji inhibitorem kinaz stosowanym u pacjentów z PBS w fazie przewlekłej i akceleracji jako leczenie drugiego rzutu, gdy imatynib (pierwszej generacji inhibitor kinaz) stosowany jako leczenie pierwszej linii przestał być skuteczny. Proponowane zmiany programu lekowego polegają na modyfikacji kryteriów uznania leczenia imatynibem za nieskuteczne przez potraktowanie, w zakresie ustalania braku odpowiedzi lub utraty pozytywnej odpowiedzi na leczenie, wyniku badania molekularnego (wyznaczenia metodą RQ-PCR liczby kopii transkryptu genu fuzyjnego kinazy BCR/ABL w limfocytach z krwi obwodowej) jako ekwiwalentu badania cytogenetycznego (wyznaczenia kariotypu komórek szpiku pobranych drogą biopsji aspiracyjnej). Przyczyną oporności na leczenie imatynibem są mutacje genu BCR/ABL, ale prawie wszystkie zmutowane postacie tego białka są nadal podatne na inhibicję nilotynibem. W świetle obecnego stanu wiedzy propozycja dołączenia do badań cytogenetycznych badań molekularnych, pozwalająca pacjentom uniknąć wielokrotnych biopsji szpiku, jest racjonalna i uzasadniona. Niektóre obserwacje sugerują, że metoda molekularna jest bardziej czuła i nieco wcześniej sygnalizuje zanik skuteczności leczenia imatynibem niż metoda cytogenetyczna. Jednak nawet w przypadku całkowitego przejścia na monitorowanie skuteczności leczenia metodą molekularną liczba pacjentów leczonych na PBS w ramach programu lekowego nie ulegnie zmianie,*



**[REDAKTOWANE]**. Można jednak oczekiwać, że zmiana ta wygeneruje dodatkowe koszty dla NFZ.

**Przedmiot zlecenia**

Zlecenie Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, na podstawie pisma Ministra Zdrowia PLA.4600.400.2016.DJ z dnia 19.07.2016r. dotyczącego wydania przez Radę Przejrzystości opinii w sprawie zasadności wprowadzenia zmian w opisie programu lekowego "Leczenie przewlekłej białaczki szpikowej (ICD-10 C92.1)", proponowanych przez wnioskodawcę, ze szczególnym uwzględnieniem ich ewentualnego wpływu na populację pacjentów leczonych w ramach programu.

.....  
Przewodniczący Rady Przejrzystości  
prof. Tomasz Pasierski

**Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt. 4 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2015 r. poz. 581 z późn. zm.), z uwzględnieniem Opracowania na potrzeby oceny zasadności wprowadzenia zmian w dotychczasowych zapisach programu lekowego, Raport nr: OT.434.42.2016, „Program lekowy „Leczenie przewlekłej białaczki szpikowej (ICD 10 C92.1)”. Data ukończenia: 29.07.2016 r.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Novartis Poland sp. z o.o.).

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem Novartis Poland sp. z o.o.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 2014, poz.782 z późn. zm.) w zw. z art. 11 ust. 4 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2003 r., Nr 153, poz. 1503 z późn. zm.).

**Organ dokonujący wyłączenia jawności:** Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji.

**Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności:** Novartis Poland sp. z o.o.