



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 121/2016 z dnia 28 listopada 2016 roku

w sprawie oceny leku Blincyto (blinatumomab) kod EAN: 5909991256371, w ramach programu lekowego „Leczenie blinatumomabem ostrej białaczki limfoblastycznej z komórek prekursorowych limfocytów B bez chromosomu Filadelfia w przypadku wznowy lub oporności na wcześniejszą terapię (ICD-10 C91.0)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Blincyto (blinatumomab), proszek do sporządzania koncentratu i roztwór do przygotowania roztworu do infuzji, 38,5 µg, 1 fiolka proszku do sporządzania koncentratu roztworu do infuzji oraz 1 fiolka roztworu stabilizującego, kod EAN 5909991256371, w ramach programu lekowego „Leczenie blinatumomabem ostrej białaczki limfoblastycznej z komórek prekursorowych limfocytów B bez chromosomu Filadelfia w przypadku wznowy lub oporności na wcześniejszą terapię (ICD-10 C91.0)”, w ramach nowej grupy limitowej, jako leku wydawanego bezpłatnie, pod warunkiem takiego instrumentu dzielenia ryzyka, w którym refundowany będzie jedynie koszt terapii u pacjentów osiągających całkowitą remisję.

Rada widzi zasadność ograniczenia decyzji refundacyjnej do 1 roku i ponownej oceny technologii po tym okresie.

Uzasadnienie

Dowody naukowe o stosunkowo niskiej jakości (badania bez grupy kontrolnej opublikowane jako prace pełnotekstowe oraz badanie z grupą kontrolną opublikowane w formie streszczenia) wskazują na aktywność kliniczną blinatumomabu w populacji chorych, do której adresowany jest proponowany program lekowy. Miarą tego jest wysoki odsetek remisji choroby odnotowywany w badaniach dotyczących zastosowania tego leku wśród chorych ze wznową choroby lub opornością na wcześniejsze terapie. Zdaniem Rady szczególnie istotna jest udokumentowana możliwość uzyskania remisji w stopniu pozwalającym na przeprowadzenie transplantacji szpiku kostnego (HSCT), co w badaniu Topp i wsp. 2015 odnotowano u 32/189, tj. 17% chorych. Zastosowanie blinatumomabu wiąże się z uzyskaniem 1-rocznego przeżycia



u około 30% chorych, tj. odsetka wyższego niż w historycznych grupach kontrolnych.

Jednocześnie Rada zwróciła uwagę na to, że wyniki kluczowego dla wiarygodnej oceny bezpieczeństwa i skuteczności stosowania blinatumomabu badania randomizowanego Tower nie zostały dotychczas opublikowane w formie pełnotekstowej. W związku z tym, zdaniem Rady, zasadna jest ponowna ocena wnioskowanej technologii po 1 roku.

Działania niepożądane związane ze stosowaniem blinatumomabu występują bardzo często i w wysokim odsetku przypadków są to działania w 3 lub 4 stopniu nasilenia. Do najczęstszych działań niepożądanych należy zaliczyć zakażenia, gorączkę neutropeniczną, niedokrwistość, neutropenię, małopłytkowość, leukopenię, zespół uwalniania cytokin, zaburzenia elektrolitowe, zmniejszenie łaknienia, bezsenność, ból głowy, drżenie, zawroty głowy, niedociśnienie, kaszel, zaburzenia żołądka i jelit, wysypkę, bóle pleców, kończyn, stawów i kości, obrzęki obwodowe, dreszcze, zmęczenie, ból w klatce piersiowej, zwiększenie aktywności aminotransferaz oraz reakcje na infuzję i związane z nią objawy.

Cena blinatumomabu jest wysoka, a zaproponowany instrument dzielenia ryzyka nie zapewnia efektywności kosztowej stosowania leku w Polsce. Z tego powodu Rada nie akceptuje go i wnosi o przedstawienie nowego instrumentu dzielenia ryzyka, w którym refundowany będzie jedynie koszt terapii u pacjentów osiągających całkowitą remisję i który pozwoli na zmniejszenie kosztów inkrementalnych do progu opłacalności, o którym mowa w ustawie o refundacji.

We wnioskowanym programie lekowym nie określono kryteriów, na podstawie których należy stwierdzić progresję choroby wykluczającą udział pacjenta w programie, tym samym Rada zaleca ich sprecyzowanie.

Wśród rekomendacji refundacyjnych odnaleziono 3 pozytywne (walijska AWMMSG 2016, francuska HAS 2016, szkocka SMC 2016), 1 negatywną (australijską PBAC 2015) oraz 1, w której w zależności od stosowanych wcześniej linii leczenia wydano rekomendację negatywną lub warunkowo pozytywną (kanadyjska pCODR 2016). Blincyto (blinatumomab) jest obecnie finansowany w 9 krajach UE: są to wyłącznie kraje o PKB per capita wyższym niż Polska.

Zasadne byłoby wprowadzenie rejestru chorych leczonych Blincyto.

.....
Przewodniczący Rady Przejrzystości
prof. Tomasz Pasiński

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2016 r., poz. 1793 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr OT.4351.32.2016 „Wniosek o objęcie refundacją leku Blincyto (blinatumomab) w ramach programu lekowego: „Leczenie blinatumomabem ostrej białaczki limfoblastycznej z komórek prekursorowych limfocytów B bez chromosomu Filadelfia w przypadku wznowy lub oporności na wcześniejszą terapię (ICD-10 C91.0)”.
Data ukończenia: 17 listopada 2016, z uwzględnieniem stanowiska eksperta przedstawionego na posiedzeniu 28.11.2016 r.