



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 3/2019 z dnia 14 stycznia 2019 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych,
w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych,
leku Mozobil (plerixafor) we wskazaniu: mięsak Ewinga

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, produktu leczniczego Mozobil (plerixafor), fiołki à 24 mg/1,2 ml we wskazaniu: mięsak Ewinga.

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Mięsak Ewinga jest rzadkim nowotworem złośliwym kości (zaraz po kostniakomięsaku). Jest chorobą dotyczącą młode osoby, między 10 a 20 rokiem życia. Częstotliwość zachorowania wynosi 10 przypadków na milion w grupie wiekowej 10 - 19 lat. Mięsak Ewinga cechuje się wrażliwością na chemioterapię (CTH) i radioterapię (RTH). Stosowanie CTH w dawkach konwencjonalnych często nie wystarcza do wyleczenia, co wynika między innymi z mielotoksyczności. Przeszczepienie krwiotwórczych komórek macierzystych (HSCT, hematopoietic stem cell transplantation) umożliwia stosowanie leczenia w dawkach mieloablacyjnych (kilkakrotnie większych niż stosowane rutynowo), co pozwala na znaczną intensyfikację terapii. W razie niepowodzenia mobilizacji macierzystych komórek krwiotwórczych przy wykorzystaniu czynników wzrostu kolonii granulocytowych (G-CSF, granulocyte-colony stimulating factor) w monoterapii lub w skojarzeniu z CTH, co zdarza się w przypadku 10–40% pobrań autologicznych, podejmuje się kolejną próbę z wykorzystaniem innego protokołu (np. G-CSF w skojarzeniu z plerixaforem) lub rozważa się pobranie materiału przeszczepowego ze szpiku kostnego. Nieskutecznie leczony mięsak Ewinga prowadzi do zgonu.

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Podanie plerixaforu ma powodować mobilizację prawidłowych funkcjonalnie komórek CD34+ zdolnych do przejęcia funkcji krwiotwórczej i repopulacji hematopoetycznej. Brak jest jednak badań oceniających skuteczność kliniczną leku. Ocena opiera się jedynie o opisy pojedynczych przypadków. W opinii eksperta „Zastosowanie plerixaforu umożliwia wykonanie mobilizacji i separacji



komórkowej u pacjentów, u których jest to niemożliwe po zastosowaniu konwencjonalnych metod. Dzięki temu możliwe jest wykonanie przeszczepienia autologicznych komórek krwiotwórczych, co jest terapią optymalną w tej chorobie”.

Bezpieczeństwo stosowania

Niepełne z uwagi na krótkie doświadczenie z tą technologią.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Plerixafor wspomaga HSCT.

Konkurencyjność cenowa

Nie jest do oceny z uwagi na brak alternatywy.

Wpływ na wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorców

Populacja docelowa w tym wskazaniu nie przekracza 10 osób. Przy założeniu zakresu liczebności populacji docelowej od 2 do 9 osób oraz danych kosztowych i czasu trwania terapii zgodnej z wnioskiem, wydatki płatnika publicznego będą stosunkowo małe.

Alternatywna technologia medyczna, w rozumieniu ustawy o świadczeniach, oraz jej efektywność kliniczna i bezpieczeństwo stosowania

Plerixafor stosowany jest w razie niepowodzenia mobilizacji macierzystych komórek krwiotwórczych przy wykorzystaniu G-CSF i nie ma obecnie dla niego alternatywy w tym wskazaniu.

Główne argumenty decyzji

Zdaniem ekspertów lek jest niezbędny w wybranych przypadkach przeszczepienia autologicznych komórek krwiotwórczych. Liczba pacjentów, u których technologia ta znajdzie zastosowanie i obciążenie budżetu płatnika publicznego są niewielkie.

.....
Prof. IK dr n med. Piotr Szymański
Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt. 4 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2018 r., poz. 1510, z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, nr: OT.422.49.2018, „Mozobil (plerixafor) we wskazaniu: mięsak Ewinga (ICD-10: C49.5)”, data ukończenia: 9 stycznia 2019 r.