



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 321/2019 z dnia 7 października 2019 roku

w sprawie substancji czynnej arsenicum trioxidum we wskazaniu pozarejestacyjnym: C92.4 ostra białaczka promielocytowa w przypadku: pacjentów poniżej 18 roku życia z rozpoznaniem ostrej białaczki promielocytowej charakteryzującej się translokacją t(15;17) i (lub) obecnością genu PML/RAR-alfa

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną arsenicum trioxidum we wskazaniu pozarejestacyjnym: C92.4 ostra białaczka promielocytowa w przypadku: pacjentów poniżej 18 roku życia z rozpoznaniem ostrej białaczki promielocytowej charakteryzującej się translokacją t(15;17) i (lub) obecnością genu PML/RAR-alfa.

Uzasadnienie

Aktualne dowody naukowe (Zhang 2018, AAML0631 - Kutny 2017, Creutzig 2017) oraz wytyczne międzynarodowych organizacji medycznych wskazują na istotne zastosowanie kliniczne produktów leczniczych zawierających tritlenek diarsenu w zakresie wskazań do stosowania, sposobu podawania odmiennych niż te określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego. W ostrej białaczce promielocytowej, która stanowi 5-10% przypadków dziecięcej ostrej białaczki szpikowej, pierwszą linią leczenia, wywołującą remisję całkowitą w ponad 90% przypadków, jest podawanie kwasu całkowicie-trans-retinowego (ATRA) i antracyklin. Po zastosowaniu tego leczenia u około 25% pacjentów dochodzi do nawrotu choroby, zazwyczaj po 10 latach. W przypadkach opornych na leczenie pierwszej linii i nawrotowych, w których nie można już zastosować leków antracyklinowych ze względu na ich kumulatywną kardi toksycyżność, aktualne wytyczne międzynarodowe zalecają zastosowanie tritlenku diarsenu jako skuteczne, chociaż toksyczne, leczenie drugiej linii.

Wymieniona substancja czynna została pozytywnie zaopiniowana przez Radę Przejrzystości 7 listopada 2016 r. (ORP 320/2016). Nowe dowody naukowe potwierdzają zasadność kontynuowania refundacji substancji czynnej we wskazaniu: pacjenci poniżej 18 roku życia z rozpoznaniem ostrej białaczki



promielocytowej charakteryzującej się translokacją t (15;17) i (lub) obecnością genu PML/RAR-alfa.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 784 z późn. zm.).

Wykorzystane źródła danych:

1. Opracowanie na potrzeby oceny zasadności dalszego finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego, aneks do raportu nr: OT.434.29.2016 „Arsenicum trioxidum we wskazaniach: pacjenci poniżej 18 roku życia z rozpoznaniem ostrej białaczki promielocytowej charakteryzującej się translokacją t (15;17) i (lub) obecnością genu PML/RAR alfa”. Data ukończenia: 02 październik 2019 r.