



Opinia Rady Przejrzystości
nr 136/2022 z dnia 5 września 2022 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną
arsenicum trioxidum w zakresie wskazań do stosowania
lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone
w Charakterystyce Produktu Leczniczego

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

W ramach aktualizacji przeglądu odnaleziono nowe badania spełniające kryteria włączenia – 2 randomizowane badania: Luo 2022 i Kutny 2019, 1 badanie prospektywne obserwacyjne Strocchio 2018 oraz 5 badań retrospektywnych: Jabbar 2021, Testi 2021, Li 2021, Czogała 2020 oraz Garcia Spezza 2019. Wyniki odnalezionych badań wskazują, że leczenie ostrej białaczki promielocytowej, z uwzględnieniem schematu ATO + ATRA (trójtlenek arsenu + kwas all-transretinowy), wydaje się być skuteczną terapią w populacji dzieci i młodzieży. Ponadto zwraca się uwagę na korzystniejszy profil bezpieczeństwa, w porównaniu ze standardową chemioterapią. W większości odnalezionych badań wskazuje się, jako ograniczenia, brak standaryzowanych punktów czasowych follow-up oraz niewielką liczbę pacjentów. Badanie z dłuższym okresem obserwacji są pożądane, aby stwierdzić czy skuteczność terapii jest długoterminowo utrzymywana.

W ramach aktualizacji wyszukiwania odnaleziono polskie wytyczne PTOK z 2020 r., w których zastosowanie ATO w skojarzeniu z ATRA zaleca się standardowo w nawrocie choroby. Wytyczne rekomendują rozważenie tego schematu także u nowozdiagnozowanych pacjentów niskiego i pośredniego ryzyka. W wytycznych nie wyodrębnia się specjalnego postępowania u dzieci i młodzieży.

Refundacja leków zawierających substancję czynną arsenicum trioxidum została pozytywnie zaopiniowana przez Radę Przejrzystości w 2016 i w 2019 roku. Nowe

dowody naukowe potwierdzają zasadność kontynuowania refundacji leku 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 o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2022 r., poz. 463), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 1285 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności dalszego finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr: OT.4221.38.2022 (Aneks do opracowania nr: OT.4321.38.2019) „Arsenicum trioxidum 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”. Data ukończenia: 31 sierpnia 2022 r.