



Rada Przejrzystości
działająca przy
Prezisie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

BP.401.9.2021.LAn

Protokół nr 8/2021
z posiedzenia Rady Przejrzystości
w dniu 22 lutego 2021 roku
w formie wideokonferencji

Rafał Niżankowski otworzył posiedzenie o godzinie 10:07.

Członkowie Rady Przejrzystości (Rada) obecni przy rozpoczęciu posiedzenia (kworum 14 osób):

1. Anna Cieślik
2. Anna Gręziak
3. Dariusz Jarnutowski
4. Maciej Karaszewski
5. Dorota Kilańska
6. Adam Maciejczyk
7. Tomasz Młynarski
8. Michał Myśliwiec
9. Rafał Niżankowski
10. Tomasz Pasierski
11. Jakub Pawlikowski
12. Tomasz Romańczyk
13. Rafał Suwiński
14. Piotr Szymański
15. Janusz Szyndler
16. Anetta Undas
17. Artur Zaczyński

Członkowie Rady nieobecni na posiedzeniu:

1. Barbara Jaworska-Łuczak

Proponowany porządek obrad:

1. Ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przedstawienie kontekstu oceny Rady w zakresie technologii lekowych ocenianych pod kątem uwzględnienia na wykazie technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności.
3. Przygotowanie opinii w sprawie technologii lekowych ocenianych pod kątem uwzględnienia na wykazie technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności:



- 1) Adakveo (kryzanlizumab) we wskazaniu: zapobieganie nawracającym przełomom naczyniowo-okluzyjnym (ang. vaso-occlusive crisis, VOC) u pacjentów z niedokrwistością sierpowatokrwinkową w wieku 16 lat i starszych,
- 2) Arikayce liposomal (amikacyna) we wskazaniu: leczenie zakażeń płuc wywołanych przez prątki niegruźlicze *Mycobacterium avium* Complex (MAC) u osób dorosłych z ograniczonymi możliwościami leczenia, u których nie występuje mukowiscydoza,
- 3) Ayvakyt (awaprytynib) we wskazaniu: monoterapia w leczeniu dorosłych pacjentów z nieresekcyjnymi albo przerzutowymi nowotworami podścieliskowymi przewodu pokarmowego (ang. gastrointestinal stromal tumour, GIST) z mutacją D842V w genie kodującym receptor alfa płytkopochodnego czynnika wzrostu (ang. platelet-derived growth factor receptor alpha, PDGFRA),
- 4) Blenrep (belantamab mafodotin) we wskazaniu: szpiczak mnogi u pacjentów po co najmniej czterech liniach leczenia (ICD-10 C90.0),
- 5) Calquence (akalabrutynib) we wskazaniu: nieleczone wcześniej przewlekła białaczka limfocytowa (ang. chronic lymphocytic leukaemia, CLL),
- 6) Calquence (akalabrutynib) we wskazaniu: leczenie dorosłych pacjentów z przewlekłą białaczką limfocytową (ang. chronic lymphocytic leukaemia, CLL), którzy wcześniej otrzymali co najmniej jedną terapię,
- 7) Daurismo (glasdegibum) we wskazaniu: leczenie dorosłych pacjentów z nowo zdiagnozowaną ostrą białaczką szpikową (AML, ang. acute myeloid leukaemia) występującą de novo lub wtórną, których nie można poddać standardowej chemioterapii indukującej,
- 8) Givlaari (giwosyran sodowy) we wskazaniu: ostra porfiria wątrobowa u dorosłych i młodzieży w wieku od 12 lat,
- 9) Hepcludex (bulewirtyd) we wskazaniu: przewlekłe wirusowe zapalenie wątroby typu D (HDV),
- 10) Idefirix (imlifidaza) we wskazaniu: leczenie desensytyzacyjne (odczulanie) u wysoko immunizowanych dorosłych biorców przeszczepu nerki,
- 11) Isturisa (osilodrostat) we wskazaniu: leczenie endogennego zespołu Cushinga u osób dorosłych,
- 12) Obiltoxaximab SFL (obiltoxaximab) we wskazaniu: w skojarzeniu z odpowiednimi lekami przeciwbakteryjnymi we wszystkich grupach wiekowych w leczeniu węglika wziewnego wywołanego przez bakterię *Bacillus anthracis*,
- 13) Obiltoxaximab SFL (obiltoxaximab) we wskazaniu: we wszystkich grupach wiekowych w ramach profilaktyki poekspozycyjnej węglika wziewnego, kiedy inne metody leczenia są nieodpowiednie lub niedostępne,
- 14) Oxlummo (lumazyran sodu) we wskazaniu: leczenie pierwotnej hiperoksalurii typu 1 we wszystkich grupach wiekowych,
- 15) Piqray (alpelisyb) we wskazaniu: leczenie kobiet po menopauzie oraz mężczyzn z miejscowo zaawansowanym lub rozsiałym rakiem piersi HR-dodatnim, HER2-ujemnym z mutacją PIK3CA,
- 16) Polivy (polatuzumab wedotyny) we wskazaniu: leczenie dorosłych pacjentów z nawrotowym/opornym chłoniakiem rozlanym z dużych komórek B, którzy nie kwalifikują się do przeszczepienia krwiotwórczych komórek macierzystych,
- 17) Pretomanid FGK/Drovprela (pretomanid) we wskazaniu: gruźlica lekooporna (MDR, XDR),
- 18) Reblozyl (luspatercept) we wskazaniu: niedokrwistość zależna od transfuzji z powodu zespołów mielodysplastycznych,

- 19) Rebzyl (luspatercept) we wskazaniu: niedokrwistość zależna od transfuzji związana z beta-talazemią,
- 20) Rozlytrek (entrektytib) we wskazaniu: guzy lite z obecnością fuzji genu neurotroficznej receptorowej kinazy tyrozynowej (NTRK, ang. neurotrophic tyrosine receptor kinase),
- 21) Sarclisa (izatuksymab) we wskazaniu: dorośli pacjenci z nawrotowym i opornym na leczenie szpiczakiem mnogim, którzy otrzymali wcześniej co najmniej dwa cykle leczenia, w tym z zastosowaniem lenalidomidu i inhibitora proteasomów, u których nastąpiła progresja choroby po ostatnim leczeniu,
- 22) Zolgensma (onasemnogen abeparawek) we wskazaniu: rdzeniowy zanik mięśni (ang. spinal muscular atrophy, SMA) 5q z bialleliczną mutacją genu SMN1 i klinicznym rozpoznaniem SMA typu 1 lub pacjentów z rdzeniowym zanikiem mięśni 5q z bialleliczną mutacją genu SMN1 i z nie więcej niż 3 kopiami genu SMN2.

4. Zakończenie posiedzenia.

Ad 1. Trzech członków Rady zgłosiło konflikty interesów: Tomasz Romańczyk w zakresie leków firmy Pfizer i Celgene, Anetta Undas w zakresie leku firmy Pfizer, Piotr Szymański w zakresie leków firmy Novartis, w związku z czym podczas głosowania nad pkt. 3 porządku obrad ich głosy liczone będą jako wstrzymujące. Żaden z pozostałych członków Rady nie zgłosił konfliktu interesów.

Rafał Niżankowski zaproponował zmianę porządku obrad, polegającą na omówieniu leku Arikayce liposomal jako ostatniego.

Zmieniony porządek obrad:

2. Przedstawienie kontekstu oceny Rady w zakresie technologii lekowych ocenianych pod kątem uwzględnienia na wykazie technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności.
3. Przygotowanie opinii w sprawie technologii lekowych ocenianych pod kątem uwzględnienia na wykazie technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności:
 - 1) Adakveo (kryzanlizumab) we wskazaniu: zapobieganie nawracającym przetłomom naczyniowo-okluzyjnym (ang. vaso-occlusive crisis, VOC) u pacjentów z niedokrwistością sierpowatokrwinkową w wieku 16 lat i starszych,
 - 2) Ayvakyt (awaprytynib) we wskazaniu: monoterapia w leczeniu dorosłych pacjentów z nieresekcyjnymi albo przerzutowymi nowotworami podścieliskowymi przewodu pokarmowego (ang. gastrointestinal stromal tumour, GIST) z mutacją D842V w genie kodującym receptor alfa płytkopochodnego czynnika wzrostu (ang. platelet-derived growth factor receptor alpha, PDGFRA),
 - 3) Blenrep (belantamab mafodotin) we wskazaniu: szpiczak mnogi u pacjentów po co najmniej czterech liniach leczenia (ICD-10 C90.0),
 - 4) Calquence (akalabrutynib) we wskazaniu: nieleczone wcześniej przewlekła białaczka limfocytowa (ang. chronic lymphocytic leukaemia, CLL),
 - 5) Calquence (akalabrutynib) we wskazaniu: leczenie dorosłych pacjentów z przewlekłą białaczką limfocytową (ang. chronic lymphocytic leukaemia, CLL), którzy wcześniej otrzymali co najmniej jedną terapię,
 - 6) Daurismo (glasdegibum) we wskazaniu: leczenie dorosłych pacjentów z nowo zdiagnozowaną ostrą białaczką szpikową (AML, ang. acute myeloid leukaemia) występującą de novo lub wtórną, których nie można poddać standardowej chemioterapii indukującej,
 - 7) Givlaari (giwosyran sodowy) we wskazaniu: ostra porfiria wątrobowa u dorosłych i młodzieży w wieku od 12 lat,

- 8) Hepcludex (bulewirtyd) we wskazaniu: przewlekłe wirusowe zapalenie wątroby typu D (HDV),
- 9) Idefirix (imlifidaza) we wskazaniu: leczenie desensytyzacyjne (odczulanie) u wysoko immunizowanych dorosłych biorców przeszczepu nerki,
- 10) Isturisa (osilodrostat) we wskazaniu: leczenie endogennego zespołu Cushinga u osób dorosłych,
- 11) Obiltoxaximab SFL (obiltoxaximab) we wskazaniu: w skojarzeniu z odpowiednimi lekami przeciwbakteryjnymi we wszystkich grupach wiekowych w leczeniu węglika wziewnego wywołanego przez bakterię *Bacillus anthracis*,
- 12) Obiltoxaximab SFL (obiltoxaximab) we wskazaniu: we wszystkich grupach wiekowych w ramach profilaktyki poekspozycyjnej węglika wziewnego, kiedy inne metody leczenia są nieodpowiednie lub niedostępne,
- 13) Oxlumo (lumazyran sodu) we wskazaniu: leczenie pierwotnej hiperoksalurii typu 1 we wszystkich grupach wiekowych,
- 14) Piqray (alpelisyb) we wskazaniu: leczenie kobiet po menopauzie oraz mężczyzn z miejscowo zaawansowanym lub rozsiałym rakiem piersi HR-dodatnim, HER2-ujemnym z mutacją PIK3CA,
- 15) Polivy (polatuzumab wedotyny) we wskazaniu: leczenie dorosłych pacjentów z nawrotowym/opornym chłoniakiem rozlanym z dużych komórek B, którzy nie kwalifikują się do przeszczepienia krwiotwórczych komórek macierzystych,
- 16) Pretomanid FGK/Drovprela (pretomanid) we wskazaniu: gruźlica lekooporna (MDR, XDR),
- 17) Reblozyl (luspatercept) we wskazaniu: niedokrwistość zależna od transfuzji z powodu zespołów mielodysplastycznych,
- 18) Reblozyl (luspatercept) we wskazaniu: niedokrwistość zależna od transfuzji związana z beta-talazemią,
- 19) Rozlytrek (entrektynib) we wskazaniu: guzy lite z obecnością fuzji genu neurotroficznej receptorowej kinazy tyrozynowej (NTRK, ang. neurotrophic tyrosine receptor kinase),
- 20) Sarclisa (izatuksymab) we wskazaniu: dorośli pacjenci z nawrotowym i opornym na leczenie szpiczakiem mnogim, którzy otrzymali wcześniej co najmniej dwa cykle leczenia, w tym z zastosowaniem lenalidomidu i inhibitora proteasomów, u których nastąpiła progresja choroby po ostatnim leczeniu,
- 21) Zolgensma (onasemnogen abeparwowek) we wskazaniu: rdzeniowy zanik mięśni (ang. spinal muscular atrophy, SMA) 5q z bialleliczną mutacją genu SMN1 i klinicznym rozpoznaniem SMA typu 1 lub pacjentów z rdzeniowym zanikiem mięśni 5q z bialleliczną mutacją genu SMN1 i z nie więcej niż 3 kopiami genu SMN2,
- 22) Arikayce liposomal (amikacyna) we wskazaniu: leczenie zakażeń płuc wywołanych przez prątki niegruźlicze *Mycobacterium avium* Complex (MAC) u osób dorosłych z ograniczonymi możliwościami leczenia, u których nie występuje mukowiscydoza.

4. Zakończenie posiedzenia.

Rada jednogłośnie przyjęła zmieniony porządek obrad.

Ad 2. Dyrektor Biura Prezesa Agencji przedstawiła prezentację dot. kontekstu oceny przez Radę technologii lekowych ocenianych pod kątem uwzględnienia na wykazie technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności.

Głos w dyskusji Rady zabrali: Tomasz Romańczyk, Janusz Szyndler, Anetta Undas, Tomasz Pasierski i Rafał Niżankowski.

Ad 3. Analitycy Agencji prezentowali informacje odnoszące się do poszczególnych technologii lekowych ocenianych pod kątem uwzględnienia na wykazie technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności, a wyznaczeni członkowie Rady przedstawiali propozycje oceny poszczególnych technologii, zgodnie z poniższą kolejnością:

- 1) w zakresie leku Adakveo (kryzanlizumab) we wskazaniu dot. zapobiegania nawracającym przełomom naczyniowo-okluzyjnym propozycję oceny przedstawiła Anetta Undas,
- 2) w zakresie leku Ayvakyt (awaprytynib) we wskazaniu dot. monoterapii w leczeniu dorosłych pacjentów z nieresekcyjnymi albo przerzutowymi nowotworami podścieliskowymi przewodu pokarmowego propozycję oceny przedstawił Tomasz Pasierski,
- 3) w zakresie leku Blenrep (belantamab mafodotin) we wskazaniu dot. szpiczaka mnogiego propozycję oceny przedstawiła Anna Cieślik,
- 4) w zakresie leku Calquence (akalabrutynib) we wskazaniu dot. nieleczonej wcześniej przewlekłej białaczki limfocytowej propozycję oceny przedstawił Tomasz Romańczyk,
- 5) w zakresie leku Calquence (akalabrutynib) we wskazaniu dot. leczenia dorosłych pacjentów z przewlekłą białaczką limfocytową, którzy wcześniej otrzymali co najmniej jedną terapię propozycję oceny przedstawił Tomasz Romańczyk,
- 6) w zakresie leku Daurismo (glasdegibum) we wskazaniu dot. leczenia dorosłych pacjentów z nowo zdiagnozowaną ostrą białaczką szpikową propozycję oceny przedstawił Artur Zaczyński,
- 7) w zakresie leku Givlaari (giwosyran sodowy) we wskazaniu dot. ostrej porfirii wątrobowej propozycję oceny przedstawił Piotr Szymański,
- 8) w zakresie leku Hepcludex (bulewirtyd) we wskazaniu dot. przewlekłego wirusowego zapalenia wątroby typu D propozycję oceny przedstawiła Anna Gręziak,
- 9) w zakresie leku Idefirix (imlifidaza) we wskazaniu dot. leczenia desensytyzacyjnego (odczulania) u wysoko immunizowanych dorosłych biorców przeszczepu nerki propozycję oceny przedstawił Tomasz Młynarski,
- 10) w zakresie leku Isturisa (osilodrostat) we wskazaniu dot. leczenia endogennego zespołu Cushinga propozycję oceny przedstawiła Dorota Kilańska,
- 11) w zakresie leku Obiltoxaximab SFL (obiltoxaximab) we wskazaniu dot. leczenia węglika wziewnego wywołanego przez bakterię *Bacillus anthracis* propozycję oceny przedstawił Dariusz Jarnutowski,
- 12) w zakresie leku Obiltoxaximab SFL (obiltoxaximab) we wskazaniu dot. profilaktyki poekspozycyjnej węglika wziewnego propozycję oceny przedstawił Dariusz Jarnutowski,
- 13) w zakresie leku Piqray (alpelisyb) we wskazaniu dot. leczenia kobiet po menopauzie oraz mężczyzn z miejscowo zaawansowanym lub rozsianym rakiem piersi HR-dodatnim, HER2-ujemnym z mutacją PIK3CA propozycję oceny przedstawił Adam Maciejczyk,
- 14) w zakresie leku Oxlumo (lumazyran sodu) we wskazaniu dot. leczenia pierwotnej hiperoksalurii typu 1 propozycję oceny przedstawił Tomasz Romańczyk,
- 15) w zakresie leku Polivy (polatuzumab wedotyny) we wskazaniu dot. leczenia dorosłych pacjentów z nawrotowym/ opornym chłoniakiem rozlanym z dużych komórek B propozycję oceny przedstawił Rafał Suwiński,
- 16) w zakresie leku Pretomanid FGK/Drovprela (pretomanid) we wskazaniu dot. gruźlicy lekoopornej propozycję oceny przedstawił Jakub Pawlikowski,
- 17) w zakresie leku Reblozyl (luspatercept) we wskazaniu dot. niedokrwistości zależnej od transfuzji z powodu zespołów mielodysplastycznych propozycję oceny przedstawił Maciej Karaszewski,
- 18) w zakresie leku Reblozyl (luspatercept) we wskazaniu dot. niedokrwistości zależnej od transfuzji związanej z beta-talazemią propozycję oceny przedstawił Maciej Karaszewski,
- 19) w zakresie leku Rozlytrek (entrektytib) we wskazaniu dot. guzów litych z obecnością fuzji genu neurotroficznego receptora kinazy tyrozynowej propozycję oceny przedstawił Janusz Szyndler,

- 20) w zakresie leku Sarclisa (izatuksymab) we wskazaniu dot. dorosłych pacjentów z nawrotowym i opornym na leczenie szpiczakiem mnogim propozycję oceny przedstawiła Anna Cieślik,
- 21) w zakresie leku Zolgensma (onasemnogen abeparwówek) we wskazaniu dot. rdzeniowego zaniku mięśni propozycję oceny przedstawił Michał Myśliwiec,
- 22) w zakresie leku Arikayce liposomal (amikacyna) we wskazaniu dot. leczenia zakażeń płuc wywołanych przez prątki niegruźlicze Mycobacterium avium Complex propozycję oceny przedstawił Rafał Niżankowski.

Rada przeprowadziła dyskusję, w której uczestniczyli: Rafał Niżankowski, Anetta Undas, Tomasz Pasierski, Anna Gręziak, Michał Myśliwiec, Tomasz Romańczyk, Janusz Szyndler, Anna Cieślik, Artur Zaczyński, Piotr Szymański, Tomasz Młynarski, Dorota Kilańska, Dariusz Jarnutowski, Adam Maciejczyk, Rafał Suwiński, Jakub Pawlikowski i Maciej Karaszewski. W wyniku dyskusji, spośród ocenianych technologii Rada wskazała te, które powinny i te, które nie powinny zostać uwzględnienie w wykazie technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 13 głosami „za”, przy 4 głosach wstrzymujących (3 osoby z uwagi na konflikt interesów) (17 osób obecnych) uchwaliła opinię (załącznik nr 1 do protokołu).

Ad 4. Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 14:49.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 35/2021 z dnia 22 lutego 2021 roku
w sprawie technologii lekowych ocenianych pod kątem
uwzględnienia na wykazie technologii lekowych o wysokim poziomie
innowacyjności

Rada Przejrzystości uważa za zasadne uwzględnienie w wykazie technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności następujących pozycji, spośród przedstawionych przez Agencję do oceny Rady:

- 1. Ayvakyt (awaprytynib) we wskazaniu: monoterapia w leczeniu dorosłych pacjentów z nieresekcyjnymi albo przerzutowymi nowotworami podścieliskowymi przewodu pokarmowego (ang. gastrointestinal stromal tumour, GIST) z mutacją D842V w genie kodującym receptor alfa płytkopochodnego czynnika wzrostu (ang. platelet-derived growth factor receptor alpha, PDGFRA);*
- 2. Givlaari (giwosyran sodowy) we wskazaniu: ostra porfiria wątrobowa u dorosłych i młodzieży w wieku od 12 lat;*
- 3. Idefirix (imlifidaza) we wskazaniu: leczenie desensytyzacyjne (odczulanie) u wysoko immunizowanych dorosłych biorców przeszczepu nerki;*
- 4. Isturisa (osilodrostat) we wskazaniu: leczenie endogennego zespołu Cushinga u osób dorosłych;*
- 5. Oxlumo (lumazyran sodu) we wskazaniu: leczenie pierwotnej hiperoksalurii typu 1 we wszystkich grupach wiekowych;*
- 6. Piqray (alpelisyb) we wskazaniu: leczenie kobiet po menopauzie oraz mężczyzn z miejscowo zaawansowanym lub rozsiałym rakiem piersi HR-dodatnim, HER2-ujemnym z mutacją PIK3CA;*
- 7. Polivy (polatuzumab wedotyny) we wskazaniu: leczenie dorosłych pacjentów z nawrotowym/ opornym chłoniakiem rozlanym z dużych komórek B, którzy nie kwalifikują się do przeszczepienia krwiotwórczych komórek macierzystych;*
- 8. Pretomanid FGK/Drovprela (pretomanid) we wskazaniu: gruźlica lekooporna (MDR, XDR);*



9. *Reblozyl (luspatercept)* we wskazaniu: niedokrwistość zależna od transfuzji z powodu zespołów mielodysplastycznych;
10. *Rozlytrek (entrectynib)* we wskazaniu: guzy lite z obecnością fuzji genu neurotroficznej receptorowej kinazy tyrozynowej (NTRK, ang. neurotrophic tyrosine receptor kinase);
11. *Zolgensma (onasemnogen abeparwówek)* we wskazaniu: rdzeniowy zanik mięśni (ang. spinal muscular atrophy, SMA) 5q z bialleliczną mutacją genu SMN1 i klinicznym rozpoznaniem SMA typu 1 lub pacjentów z rdzeniowym zanikiem mięśni 5q z bialleliczną mutacją genu SMN1 i z nie więcej niż 3 kopiami genu SMN2.

Rada Przejrzystości uważa za niezasadne uwzględnienie w wykazie technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności następujących pozycji, spośród przedstawionych przez Agencję do oceny Rady:

1. *Adakveo (kryzanlizumab)* we wskazaniu: zapobieganie nawracającym przełomom naczyniowo-okluzyjnym (ang. vaso-occlusive crisis, VOC) u pacjentów z niedokrwistością sierpowatokrwinkową w wieku 16 lat i starszych;
2. *Arikayce liposomal (amikacyna)* we wskazaniu: leczenie zakażeń płuc wywołanych przez prątki niegruźlicze *Mycobacterium avium Complex (MAC)* u osób dorosłych z ograniczonymi możliwościami leczenia, u których nie występuje mukowiscydoza;
3. *Blenrep (belantamab mafodotin)* we wskazaniu: szpiczak mnogi u pacjentów po co najmniej czterech liniach leczenia (ICD-10 C90.0);
4. *Calquence (akalabrutynib)* we wskazaniu: nieleczona wcześniej przewlekła białaczka limfocytowa (ang. chronic lymphocytic leukaemia, CLL);
5. *Calquence (akalabrutynib)* we wskazaniu: leczenie dorosłych pacjentów z przewlekłą białaczką limfocytową (ang. chronic lymphocytic leukaemia, CLL), którzy wcześniej otrzymali co najmniej jedną terapię;
6. *Daurismo (glasdegibum)* we wskazaniu: leczenie dorosłych pacjentów z nowo zdiagnozowaną ostrą białaczką szpikową (AML, ang. acute myeloid leukaemia) występującą de novo lub wtórną, których nie można poddać standardowej chemioterapii indukującej;
7. *Hepcludex (bulewirtyd)* we wskazaniu: przewlekłe wirusowe zapalenie wątroby typu D (HDV);
8. *Obiltoxaximab SFL (obiltoxaximab)* we wskazaniu: w skojarzeniu z odpowiednimi lekami przeciwbakteryjnymi we wszystkich grupach

wiekowych w leczeniu węglika wziewnego wywołanego przez bakterię *Bacillus anthracis*;

9. *Obiltoxaximab SFL (obiltoxaximab)* we wskazaniu: we wszystkich grupach wiekowych w ramach profilaktyki poekspozycyjnej węglika wziewnego, kiedy inne metody leczenia są nieodpowiednie lub niedostępne;
10. *Reblozyl (luspatercept)* we wskazaniu: niedokrwistość zależna od transfuzji związana z beta-talasemią;
11. *Sarclisa (izatuksymab)* we wskazaniu: dorośli pacjenci z nawrotowym i opornym na leczenie szpiczakiem mnogim, którzy otrzymali wcześniej co najmniej dwa cykle leczenia, w tym z zastosowaniem lenalidomidu i inhibitora proteasomów, u których nastąpiła progresja choroby po ostatnim leczeniu;

Uzasadnienie

Dokonując wyboru technologii zakwalifikowanych do oceny AOTMiT w ramach opracowania wykazu technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności, w zakresie chorób onkologicznych i chorób rzadkich, Rada Przejrzystości przyjęła następujące kryteria:

1. Istotność schorzenia (lub wskazania szczegółowego), na które składają się ciężkość skutków i występowanie w Polsce;
2. Zaspokojenie potrzeby zdrowotnej dostępność w Polsce i skuteczność technologii leczniczej w tym schorzeniu;
3. Siła wnioskowanej interwencji, uwzględniając jej skuteczności bezpieczeństwo (działania niepożądane) w rozpatrywanym wskazaniu;
4. Istotność najważniejszego punktu końcowego;
5. Dystans innowacyjny - różnica pomiędzy siłą wnioskowanej technologii a aktualnym zaspokojeniem potrzeb zdrowotnych w danym wskazaniu - jako sumaryczny miernik innowacji wynikowej;
6. Jakość dowodów naukowych;
7. Innowacyjność procesowa technologii - czy jej działanie jest innowacyjne biorąc pod uwagę punkt uchwytu i mechanizm działania;
8. Koszty terapii;
9. Koszty efektu zdrowotnego (preferencyjnie LYG);
10. Impakt budżetowy, przy uwzględnieniu wielkości populacji docelowej.

Wyboru dokonywano spośród technologii przedstawionych w raporcie AOTMiT, które Europejska Agencja Leków zarejestrowała jako leki służące do terapii

chorób nowotworowych lub określonych jako sieroce w okresie od 1 stycznia do 26 listopada 2020 r. Wyboru dokonano poprzez ocenę poszczególnych kryteriów w skali punktowej dla wszystkich preparatów, a następnie wybór tych, które w opinii członków Rady uzyskały najwyższą ocenę łączną, przy czym w odniesieniu do punktów 1-7 punktacja miała charakter rosnący wraz ze wzrostem istotności poszczególnych chorób i innowacyjności technologii, a w przypadku punktów 8-10 malejący wraz ze wzrostem kosztów terapii.

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 2020 r., poz. 1398), z uwzględnieniem opracowania zbiorczego nr: BP.425.1.2021 „PODSUMOWANIE WYNIKÓW DLA TECHNOLOGII LEKOWYCH ZAKWALIFIKOWANYCH DO OCENY W RAMACH OPRACOWANIA WYKAZU TECHNOLOGII LEKOWYCH O WYSOKIM POZIOMIE INNOWACYJNOŚCI”, data ukończenia 19 lutego 2021 r.