



**Rada Przejrzystości**  
działająca przy  
**Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji**

BP.401.17.2021.MKZ

**Protokół nr 14/2021**  
**z posiedzenia Rady Przejrzystości**  
**w dniu 31 marca 2021 roku**  
**w formie wideokonferencji**

Rafał Niżankowski otworzył posiedzenie pełnego składu o godzinie 10:05.

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

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

Członkowie Rady nieobecni na posiedzeniu

1. Dorota Kilańska
2. Tomasz Pasierski
3. Tomasz Romańczyk

Proponowany porządek obrad:

1. Ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie opinii w sprawie technologii lekowych ocenianych pod kątem uwzględnienia na liście technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności:
  - 1) 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,
  - 2) Givlaari (givosyran sodowy) we wskazaniu: ostra porfiria wątrobowa u dorosłych i młodzieży w wieku od 12 lat,
  - 3) Pretomanid FGK/Drovprela (pretomanid) we wskazaniu: gruźlica lekooporna (MDR, XDR),



- 4) Oxlumio (lumazyran sodu) we wskazaniu: leczenie pierwotnej hiperoksalurii typu 1 we wszystkich grupach wiekowych,
- 5) Rozlytrek (entrektytib) we wskazaniu: guzy lite z obecnością fuzji genu neurotroficznego receptorowej kinazy tyrozynowej (NTRK, ang. neurotrophic tyrosine receptor kinase),
- 6) 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,
- 7) Idefirix (imlifidaza) we wskazaniu: leczenie desensytyzacyjne (odczulanie) u wysoko immunizowanych dorosłych biorców przeszczepu nerki,
- 8) 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),
- 9) Piqray (alpelisyb) we wskazaniu: leczenie kobiet po menopauzie oraz mężczyzn z miejscowo zaawansowanym lub rozsiały rakiem piersi HR-dodatnim, HER2-ujemnym z mutacją PIK3CA,
- 10) Isturisa (osilodrostat) we wskazaniu: leczenie endogennego zespołu Cushinga u osób dorosłych,
- 11) Reblozyl (luspatercept) we wskazaniu: niedokrwistość zależna od transfuzji z powodu zespołów mielodysplastycznych.

### 3. Zakończenie posiedzenia.

**Ad 1.** Na wstępie Przewodniczący Rady zaproponował sposób procedowania technologii lekowych ocenianych pod kątem uwzględnienia na liście technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności.

Po przeprowadzeniu dyskusji, w której udział wzięli: Rafał Niżankowski, Anna Gręziak, Michał Myśliwiec, Anetta Undas oraz Jakub Pawlikowski, Rada ustaliła ostateczny sposób procedowania ww. tematu.

Żaden z członków Rady nie zgłosił konfliktu interesów.

Rada jednogłośnie (15 osób obecnych) przyjęła zaproponowany porządek obrad.

**Ad 2.** Analitycy Agencji zaprezentowali informacje odnoszące się do poszczególnych technologii lekowych ocenianych pod kątem uwzględnienia na liście technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności, a wyznaczeni członkowie Rady przedstawili propozycje oceny poszczególnych technologii zgodnie z poniższą kolejnością:

- 1) W zakresie leku Polivy (polatuzumab wedotyiny) we wskazaniu: leczenie dorosłych pacjentów z nawrotowym/ opornym chłoniakiem rozlanym z dużych komórek B, którzy nie kwalifikują się do przeszczepienia krwiotwórczych komórek macierzystych, a propozycję oceny przedstawił Rafał Suwiński.
- 2) W zakresie oceny leku Givlaari (giwosyran sodowy) we wskazaniu: ostra porfiria wątrobowa u dorosłych i młodzieży w wieku od 12 lat, a propozycję oceny przedstawił Piotr Szymański.
- 3) W zakresie oceny leku Pretomanid FGK/Drovprela (pretomanid) we wskazaniu: gruźlica lekooporna (MDR, XDR), a propozycję oceny przedstawił Jakub Pawlikowski.
- 4) W zakresie oceny leku Oxlumio (lumazyran sodu) we wskazaniu: leczenie pierwotnej hiperoksalurii typu 1 we wszystkich grupach wiekowych, a propozycję oceny przedstawiła Anetta Undas.

- 5) W zakresie oceny leku Rozlytrek (entrektynib) we wskazaniu: guzy lite z obecnością fuzji genu neurotroficznego receptora kinazy tyrozynowej (NTRK, ang. neurotrophic tyrosine receptor kinase), a propozycję oceny przedstawił Janusz Szyndler.
- 6) W zakresie oceny leku Zolgensma (onasemnogen abeparwovek) 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, a propozycję oceny przedstawił Michał Myśliwiec.
- 7) W zakresie oceny leku Idefirix (imlifidaza) we wskazaniu: leczenie desensytyzacyjne (odczulanie) u wysoko immunizowanych dorosłych biorców przeszczepu nerki, a propozycję oceny przedstawił Tomasz Młynarski.
- 8) W zakresie oceny leku 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), a propozycję oceny przedstawiła Anna Cieślik.
- 9) W zakresie oceny leku Piqray (alpelisyb) we wskazaniu: leczenie kobiet po menopauzie oraz mężczyzn z miejscowo zaawansowanym lub rozsianym rakiem piersi HR-dodatnim, HER2-ujemnym z mutacją PIK3CA, a propozycję oceny przedstawił Adam Maciejczyk.
- 10) W zakresie oceny leku Isturisa (osilodrostat) we wskazaniu: leczenie endogennego zespołu Cushinga u osób dorosłych, a propozycję oceny przedstawił Dariusz Jarnutowski.
- 11) W zakresie oceny leku Reblozyl (luspatercept) we wskazaniu: niedokrwistość zależna od transfuzji z powodu zespołów mielodysplastycznych, a propozycję oceny przedstawił Maciej Karaszewski.

Rada przeprowadziła dyskusję, w której uczestniczyli:

- w zakresie leku Polivy (polatuzumab wedotyny): Rafał Niżankowski, Janusz Szyndler oraz Anna Gręziak;
- w zakresie leku Givlaari (giwosyran sodowy): Janusz Szyndler oraz Rafał Niżankowski;
- w zakresie leku Rozlytrek (entrektynib): Janusz Szyndler, Rafał Niżankowski, Anna Gręziak i Rafał Suwiński;
- w zakresie oceny leku Zolgensma (onasemnogen abeparwovek): Rafał Niżankowski, Michał Myśliwiec, Anetta Undas oraz Anna Gręziak.

W wyniku dalszej części dyskusji, w której wzięli udział: Rafał Niżankowski, Anna Gręziak, Adam Maciejczyk, Maciej Karaszewski, Jakub Pawlikowski, Michał Myśliwiec, Tomasz Młynarski, Anetta Undas, Piotr Szymański oraz Janusz Szyndler, Rada wskazała technologie, które powinny znaleźć się na liście technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności oraz sformułowała treść opinii. Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (15 głosów „za”) uchwaliła opinię (załącznik nr 1 do protokołu).

**Ad 4.** Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 13:00.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 51/2021 z dnia 31 marca 2021 roku

w sprawie listy technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności przygotowywanej przez Ministra Zdrowia

*Rada Przejrzystości dokonała oceny wszystkich technologii zawartych na wykazie leków o wysokim poziomie innowacyjności, przygotowanym przez Agencję Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, które uważa za innowacyjne w różnym stopniu.*

*Rada Przejrzystości uważa, że priorytetowo należy traktować następujące 4 technologie medyczne:*

- 1. Zolgensma (onasemnogen abeparwovek) 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.*

*Jest to innowacyjna terapia genetyczna mogąca prowadzić do radykalnej poprawy przebiegu SMA typu 1. Ogromny koszt może zostać zmniejszony w rachunku wieloletnim, dzięki możliwemu zmniejszeniu wydatków na obecnie stosowany u tych pacjentów lek – nusinersen.*

- 2. Givlaari (giwosyran sodowy) we wskazaniu: ostra porfiria wątrobowa u dorosłych i młodzieży w wieku od 12 lat.*

*Jest to innowacyjna terapia genetyczna mogąca prowadzić do radykalnej poprawy przebiegu ostrej porfirii wątrobowej.*

- 3. Idefirix (imlifidaza) we wskazaniu: leczenie desensytyzacyjne (odczulanie) u wysoko immunizowanych dorosłych biorców przeszczepu nerki.*

*Lek ten daje szansę na rozwiązanie niezaspokojonej potrzeby medycznej, umożliwia przeszczepienie nerki od zmarłego dawcy u wysoce uczulonych pacjentów.*

*W pierwszym okresie stosowania leku zasadne jest takie ograniczenie warunków włączania do leczenia, by obejmowało ono pacjentów o najwyższym poziomie immunizacji, u których występują największe trudności ze znalezieniem dawcy narządu.*



**4. Pretomanid FGK/Drovprela (pretomanid) we wskazaniu: gruźlica lekooporna (MDR, XDR).**

*Lek ten ma wysoką skuteczność w wielolekoopornej gruźlicy (MDR, XDR), a koszt leczenia i wpływ na budżet, ze względu na niewielką populację, jest umiarkowany.*

**Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 40a ust. 5 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 523), 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.