



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 276/2019 z dnia 2 września 2019 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych,
w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku
Kyprolis (karfilzomib) we wskazaniu: szpiczak plazmocytowy
(ICD-10: C90.0)

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Kyprolis (karfilzomib), proszek do sporządzania roztworu do infuzji, fiolka à 60 mg, we wskazaniu: szpiczak plazmocytowy (ICD-10: C90.0).

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Szpiczak plazmocytowy jest nadal nieuleczalnym nowotworem układu krwiotwórczego cechującym się nawrotowym przebiegiem.

Rada podtrzymuje zasadną opinię co do terapii lekiem, wydaną w stosunku do omawianego w czerwcu programu lekowego dotyczącego Kyprolis.

Omawiany wniosek dotyczy przypadku, u którego nie można dokonać przeszczepu komórek macierzystych i wykorzystano wszystkie dostępne w Polsce schematy leczenia.

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Karfilzomib jest inhibitorem proteosomów o właściwościach antyproliferacyjnych i proapoptotycznych w nowotworach układu krwiotwórczego.

W badaniu ASPIRE karfilzomib, w połączeniu z lenalidomidem i deksametazonem, wydłużył całkowity czas przeżycia w porównaniu do lenalidomidu i deksametazonu o 8 miesięcy (mediana czasu przeżycia 48,3 vs 40,4 miesięcy).

Bezpieczeństwo stosowania

W analizie zbiorczej (ang. pool analysis) w 2013 oceniono bezpieczeństwo stosowania karfilzomibu u 526 pacjentów włączonych do 4 różnych badań klinicznych fazy II. Zdarzeniami niepożądanymi, występującymi u ponad jednej trzeciej pacjentów były: zmęczenie (55%), niedokrwistość (47%), nudności (45%), duszność (42%), małopłytkowość (36%) i biegunka (33%). U około 30% pacjentów



wystąpiła gorączka lub ból głowy. Odpowiednio, 24% i 14% pacjentów miało zwiększone stężenie kreatyniny w surowicy krwi i ciśnienie tętnicze.

Do najczęściej zgłaszanych zdarzeń niepożądanych stopnia ≥ 3 należały: toksyczność hematologiczna (niedokrwistość i małopłytkowość odpowiednio u 22% i 23% pacjentów), zapalenie płuc (10,5%), toksyczność serca (9,5%), zmęczenie (7,5%), zaburzenia czynności nerek (7,2%) i duszność (5%). U prawie jednej czwartej (22%) pacjentów wystąpiły zdarzenia niepożądane związane z zaburzeniami serca dowolnego stopnia. Należy jednak zauważyć, że 73,6% pacjentów miało w przeszłości zdarzenia sercowo-naczyniowe.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Produkt leczniczy Kyprolis jest zarejestrowany we wnioskowanym wskazaniu. Na tej podstawie można przyjąć, że relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania została oceniona jako korzystna.

Konkurencyjność cenowa

Nie zidentyfikowano leków generycznych.

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

Rada zwraca uwagę, że terapia jest stosunkowo droga, ale skuteczna. Wpływać może znacząco na wydatki płatnika publicznego, szczególnie w ramach RDTL, bez możliwości użycia mechanizmów dzielenia ryzyka. Oszacowanie wzrostu wydatków obarczone jest niepewnością, ponieważ liczebność populacji docelowej jest trudna do dokładnego oszacowania.

Lek nie jest refundowany w większości krajów o PKB per capita porównywalnym do PKB Polski.

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

Jako terapię alternatywną dla karfilozomibu, nierefundowaną w Polsce wytyczne wymieniają elotuzumab, iksazomib oraz panobinostat.

Główne argumenty decyzji

Mając na uwadze indywidualny przypadek, gdzie wykorzystano wszystkie dostępne opcje terapeutyczne oraz udowodniony, wydłużony całkowity czas przeżycia i uwzględnienie terapii w najnowszych wytycznych leczenia szpiczaka, Rada uznaje za zasadną refundację leku w ramach RDTL.

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 2019 r., poz. 1373), z uwzględnieniem opracowania w sprawie

zasadności finansowania ze środków publicznych, nr: OT.422.66.2019 „Kyprolis (karfilzomib) we wskazaniu szpiczak plazmocytowy (ICD-10: C90.0)”. Data ukończenia: 28 sierpnia 2019 r.