



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 9/2021 z dnia 11 stycznia 2021 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Besremi (ropeginterferon alfa-2b) we wskazaniu: mielofibroza (ICD-10 C96.7)

*Rada Przejrzystości uważa za niezasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Besremi (ropeginterferon alfa-2b), roztwór do wstrzykiwań we wstrzykiwaczu 250 mg, we wskazaniu: mielofibroza (ICD-10 C96.7).*

#### Uzasadnienie

*Minister Zdrowia zlecił Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT) na zasadzie art. 47 f ust. 1 ustawy o świadczeniach, przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych leku Besremi, ropeginterferon alfa-2b, we wskazaniu mielofibroza (ICD-10 C96.7) w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych (RDTL).*

#### Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

*Mielofibroza związana jest z nowotworami mieloproliferacyjnymi (MPN-MF). Dzieli się na pierwotną rozwijającą się de novo PMF (MPN BCR-ABL1-ujemny) oraz wtórną do czerwienicy prawdziwej (PPV-MF) lub samoistnej nadpłytkowości (PET-MF). MPN-MF jest najcięższą postacią nowotworu mieloproliferacyjnego, związaną z niewydolnością szpiku kostnego oraz ryzykiem transformacji do ostrej białaczki szpikowej.*

*Wniosek dotyczy pacjentki z mielofibrozą zdiagnozowaną w 2017 roku, która wystąpiła w przebiegu nadpłytkowości samoistnej CALR (+), ASXL(-), 46,XX, IPSS-1. Rozpoznanie nadpłytkowości samoistnej postawiono w 2006 roku. Chora dotychczas leczona IFN oraz pegylovanym IFN. W obu przypadkach leki odstawiono z powodu złej tolerancji leczenia. Od lipca 2020 roku pacjentka leczona ropegIFN. Dotychczas bardzo dobra tolerancja terapii oraz poprawa wyników morfologii krwi. Zgodnie z informacjami zawartymi we wniosku pacjentka nie kwalifikuje się do allogenicznego przeszczepienia komórek macierzystych szpiku oraz terapii ruksolitynibem. W związku z tym, w chwili obecnej zostały wyczerpane dostępne opcje terapeutyczne.*



### Skuteczność kliniczna i praktyczna oraz bezpieczeństwo stosowania

W dostępnej literaturze nie zidentyfikowano dowodów na skuteczność i bezpieczeństwa leku we wnioskowanym wskazaniu, tj. w mielofibrozie. Należy zauważyć, że lek jest zarejestrowany w leczeniu czerwienicy prawdziwej bez objawowej splenomegalii u dorosłych pacjentów. Istnieją natomiast dane wskazujące na efektywność leku w czerwienicy i nadpłytkowości u pacjentów z opornością na hydroksymocznik. Ponadto w związku z istotnymi modyfikacjami cząsteczki ropeginterferonu alfa-2b w stosunku do IFN oraz jego formy pegylowanej nie należy ekstrapolować ich skuteczności i bezpieczeństwa na ropeginterferon alfa-2b.

### Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Wskazanie, którego dotyczy wniosek nie zawiera się we wskazaniu rejestracyjnym produktu leczniczego Besremi. Brak danych klinicznych dotyczących wnioskowanego wskazania uniemożliwia określenie relacji korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania.

### Konkurencyjność cenowa

Zgodnie z informacjami z MZ, koszt 3 miesięcy terapii wynosi [REDAKTOWANO] zł brutto.

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

Na podstawie przyjętych założeń koszt finansowania ze środków publicznych ocenianej technologii lekowej w ramach RDTL we wnioskowanej populacji przez 3 miesiące terapii wyniesie [REDAKTOWANO].

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

W przypadku pacjentów z mielofibrozą, którzy nie kwalifikują się do przeszczepienia komórek macierzystych szpiku oraz do zastosowania ruksolitynibu lub fedratynibu zalecane jest leczenie objawowe w związku z tym dla ocenianej technologii lekowej nie ma technologii alternatywnej, rozumianej jako aktywne leczenie.

#### **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 późn. zm.), opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych nr: OT.422.172.2020 „Besremi (ropeginterferon alfa-2b) we wskazaniu mielofibroza (ICD-10 C96.7)”. Data ukończenia: 07.01.2021 r.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

*Dane zakreślone kolorem czarnym stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Pfizer Europe MA EEIG).*

***Zakres wyłączenia jawności:*** dane objęte oświadczeniem Pfizer Europe MA EEIG o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

***Podstawa prawna wyłączenia jawności:*** art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2016 r., poz. 1764 z późn. zm.) w zw. z art. 11 ust. 4 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2018 r., poz. 419).

***Organ dokonujący wyłączenia jawności:*** Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji.

***Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności:*** Pfizer Europe MA EEIG.