



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 101/2021 z dnia 9 sierpnia 2021 roku

w sprawie oceny leku Reblozyl (luspatercept) w ramach programu lekowego: „Leczenie dorosłych pacjentów z niedokrwistością zależną od transfuzji z powodu zespołów mielodysplastycznych o ryzyku bardzo niskim, niskim i pośrednim z obecnością pierścieniowatych syderoblastów, u których wystąpiła niedostateczna odpowiedź na leczenie erytropoetyną, lub którzy nie kwalifikują się do takiego leczenia (ICD-10 D46.1)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktów leczniczych:

- *Reblozyl (luspatercept), proszek do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 75 mg, 1, fiol., kod GTIN: 07640133688251,*
- *Reblozyl, (luspatercept), proszek do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 25 mg, 1, fiol. proszku, kod GTIN: 07640133688244,*

w ramach programu lekowego „Leczenie dorosłych pacjentów z niedokrwistością zależną od transfuzji z powodu zespołów mielodysplastycznych o ryzyku bardzo niskim, niskim i pośrednim z obecnością pierścieniowatych syderoblastów, u których wystąpiła niedostateczna odpowiedź na leczenie erytropoetyną, lub którzy nie kwalifikują się do takiego leczenia (ICD-10 D46.1)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Zespoły mielodysplastyczne (MDS, ang. myelodysplastic syndromes) są heterogenną grupą nowotworów układu krwiotwórczego, objawiających się pancytopenią, głównie niedokrwistością. Chorych o ryzyku bardzo niskim, niskim i pośrednim leczy się głównie objawowo preparatami erytropoetyny i przetoczeniami KKCz. Luspatercept jest pierwszym w swojej klasie lekiem zwiększającym dojrzewanie komórek erytroidalnych w procesie erytropoezy, wspomagającym końcowy etap dojrzewania erytrocytów.

Dowody naukowe

Pochodzą z randomizowanego badania klinicznego MEDALIST - bezpośrednio porównującego skuteczności leczenia luspaterceptem w odniesieniu do placebo.



Wykazano w nim istotnie statystycznie większe odsetki chorych z odpowiedzią na leczenie w postaci niezależności od przetoczeń KKCz, zdefiniowanej jako brak przetoczeń KKCz przez 8 tygodni lub dłużej, w tygodniach od 1 do 24 (pierwszorzędowy punkt końcowy) w grupie luspaterceptu w porównaniu z placebo (38% vs 13%).

Problem ekonomiczny

Oszacowany ICUR dla porównania luspaterceptu w połączeniu z BSC vs placebo z BSC wyniósł [REDACTED], co [REDACTED] przekracza próg ustawowy.

W tej sytuacji dziwi, że wnioskodawca nie zaproponował żadnego schematu podziału ryzyka RSS.

Główne argumenty decyzji

Brak efektywności kosztowej i brak propozycji RSS. [REDACTED]
[REDACTED]

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 523), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 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 analizy weryfikacyjnej OT.4231.26.2021 „Wniosek o objęcie refundacją leku Reblozyl (luspatercept) w ramach programu lekowego: »Leczenie dorosłych pacjentów z niedokrwistością zależną od transfuzji z powodu zespołów mielodysplastycznych o ryzyku bardzo niskim, niskim i pośrednim z obecnością pierścieniowatych syderoblastów, u których wystąpiła niedostateczna odpowiedź na leczenie erytropoetyną, lub którzy nie kwalifikują się do takiego leczenia (ICD-10 D46.1)«”. Data ukończenia: 29.07.2021 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinie przedstawiciela pacjentów i eksperta przedstawione w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy Bristol-Myers Squibb Polska Sp. z o.o.

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Bristol-Myers Squibb Polska Sp. z o.o. 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: Bristol-Myers Squibb Polska Sp. z o.o.