

NFZ

Narodowy Fundusz Zdrowia



NFZ o zdrowiu

Monitorowanie zaawansowanych
kosztochłonnych terapii nowotworów
krwi na podstawie danych NFZ:
tisagenlecleucel i aksykabtagen
cyloleucel

Warszawa, listopad 2023

Centrala Narodowego Funduszu Zdrowia

Departament Analiz, Monitorowania Jakości i Optymalizacji Świadczeń

Konsultacja merytoryczna: prof. dr hab. n. med. Jan Styczyński

ISBN: 978-83-969225-4-0

Ponowne wykorzystanie treści przedstawionych informacji jest możliwe pod warunkiem podania źródła. Narodowy Fundusz Zdrowia nie ponosi odpowiedzialności za ponowne wykorzystanie przedstawionych treści zawartych w tej publikacji.

Spis treści

1	Terapia CAR-T w danych NFZ	4
1.1	Terapia CAR-T w ramach świadczeń refundowanych	4
1.1.1	Tisagenlecleucel w programie lekowym B.65.	5
1.1.2	Tisagenlecleucel i aksykabtagen cyloleucel w programie lekowym B.12. (wcześniej B.93.)	6
1.1.3	Podsumowanie funkcjonowania programów lekowych	6
1.2	Podsumowanie danych NFZ o wynikach klinicznych terapii CAR-T	7

Terapia CAR-T w danych NFZ

1.1 Terapia CAR-T w ramach świadczeń refundowanych

Terapia CAR-T polega na pobraniu limfocytów T z krwi pacjenta, a następnie odpowiedniej ich modyfikacji, aby m.in. potrafiły rozpoznać komórki nowotworowe. Zmodyfikowane limfocyty T zostają podane pacjentowi dożylnie i pozostają w krwi pacjenta, wspomagając walkę z nowotworem. Ta metoda leczenia znajduje obecnie zastosowanie m.in. w leczeniu nowotworów hematologicznych.

Od września 2021 r. terapia CAR-T jest refundowana w ramach programu lekowego leczenia chorych na ostrą białaczkę limfoblastyczną¹. Dodatkowo od maja 2022 r. jest dostępna w ramach programu lekowego leczenia chorych na chłoniaki B-komórkowe². Po-

czątkowo terapia CAR-T w leczeniu chłoniaków była objęta programem lekowym *Leczenie chorych na chłoniaki rozlane z dużych komórek B oraz inne chłoniaki B-komórkowe* (załącznik B.93. do Obwieszczenia), od stycznia 2023 r. ten program lekowy został włączony do programu lekowego *Leczenie chorych na chłoniaki B-komórkowe* (załącznik B.12.). W Tabeli 1.1 przedstawiono podsumowanie dostępności terapii CAR-T w programach lekowych. Zamieszczono również informację o refundacji breksukabtagenu autoleucelu, który od września 2023 r. jest dostępny w terapii chłoniaka z komórek płaszczu (MCL), jednak z uwagi na brak danych sprawozdawczych nie jest przedmiotem niniejszego raportu.

Tabela 1.1: Dostępność terapii CAR-T w ramach programów lekowych

Substancja czynna	Nazwa handlowa	Program lekowy	Początek refundacji
tisagenlecleucel	Kymriah	Leczenie chorych na ostrą białaczkę limfoblastyczną (zał. B.65.)	wrzesień 2021
aksykabtagen cytorel	Yescarta	Leczenie chorych na chłoniaki B-komórkowe (zał. B.12./B.12.FM., wcześniej: B.93.)	maj 2022
tisagenlecleucel	Kymriah	Leczenie chorych na chłoniaki B-komórkowe (zał. B.12./B.12.FM., wcześniej: B.93.)	maj 2022
breksukabtagen autorel	Tecartus	Leczenie chorych na chłoniaki B-komórkowe (zał. B.12.FM.)	wrzesień 2023

Źródło: opracowanie własne

¹Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 20 sierpnia 2021 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 września 2021 r.

²Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 20 kwietnia 2022 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 maja 2022 r.

Zastosowanie terapii CAR-T wymaga spełnienia ścisłych warunków przez ośrodek prowadzący terapię. Świadczeniodawca musi posiadać certyfikację Podmiotu Odpowiedzialnego zgodnie z wymogami EMA oraz akceptację Ministerstwa Zdrowia po pozytywnej opinii Krajowej Rady Transplantacyjnej odnośnie pobierania i wykorzystania autologicznych limfocytów. Kwalifikacja pacjentów do programów lekowych następuje zgodnie z obowiązującymi kryteriami kwalifikacji przez Zespoły Koordynacyjne powołane przez Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia.

Terapia CAR-T jest wysoce kosztochłonna. Urzędowa cena zbytu jednego opakowania leku Kymriah (tisagenlecleucel) lub Yescarta (aksykabtagenu cyloleucelu), tj. zastosowanie terapii dla jednego pacjenta, wynosi obecnie 1,4 mln zł (stan na wrzesień 2023). Poza wspomnianymi lekami w polskim systemie refundacji programów lekowych istnieją zaledwie 3 inne częściczko-wskazania, dla których urzędowa cena zbytu 1 opakowania leku przekraczała 1 mln zł. Do tych substancji należały: onasemnogen abeparwówek stosowany w leczeniu rdzeniowego zaniku mięśni (9 mln zł za opakowanie), imlifidaza stosowana w odczulaniu wysoko immunizowanych dorosłych potencjalnych biorców przeszczepu nerki (1,5 mln zł za opakowanie) oraz breksukabtagen autoleucel stosowany w leczeniu chorych na chłoniaka z komórek płaszczu (1,4 mln zł za opakowanie). W pierwszym półroczu 2023 r. terapia CAR-T stanowiła 1,4% łącznej wartości refundacji podań leków w ramach wszystkich programów lekowych w Polsce.

Leki Kymriah i Yescarta zostały ujęte w wykazie technologii lekowych o wysokiej wartości klinicznej (TLK) w zastosowaniu w terapii nawrotowego lub opornego na leczenie chłoniaka rozlanego z dużych komórek B, po dwóch lub większej liczbie linii leczenia systemowego u osób dorosłych. Wykaz TLK

został opublikowany w październiku 2021 r. w związku z ustawą o Funduszu Medycznym (Dz.U. 2020 poz. 1875, z późn. zm.) oraz ustawą o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. 2011 nr 122 poz. 696, z późn. zm.). Tisagenlecleucel oraz aksykabtagen cyloleucel są zatem w ww. wskazaniach finansowane ze środków Funduszu Medycznego.

1.1.1 Tisagenlecleucel w programie lekowym B.65.

Leczenie pacjentów tisagenlecleucelem w ramach programu lekowego B.65. skierowane jest do osób w wieku do 25 lat z nawrotową/oporną białaczką limfoblastyczną (ALL) z komórek B. Stan zdrowia pacjentów objętych programem powinien w ocenie lekarza prowadzącego rokować przeżycie co najmniej 12 tygodni bez zastosowania terapii CAR-T.

Maksymalny czas opieki w ramach programu lekowego wynosi 12 miesięcy od daty podania leku. Skuteczność leczenia monitorowana jest w ramach wizyt kontrolnych — przez pierwsze 3 miesiące co miesiąc wykonuje się morfologię krwi i badanie fizykalne oraz co 3 miesiące przeprowadzany jest pełny zakres badań.

Zastosowanie terapii CAR-T wiąże się z ryzykiem wystąpienia zespołu uwalniania cytokin (CRS) — ogólnoustrojowej reakcji zapalnej organizmu będącej niepożądaną reakcją odpornościową na terapię CAR-T. Może dawać różne objawy, od łagodnych grypopodobnych do ciężkich zagrażających życiu. Pacjenci są ściśle monitorowani pod kątem wystąpienia CRS w ciągu pierwszych 10 dni od podania leku, po tym czasie o dalszym monitorowaniu decyduje lekarz.

1.1.2 Tisagenlecleucel i aksykabtagen cyloleucel w programie lekowym B.12. (wcześniej B.93.)

Leczenie pacjentów tisagenlecleucelem oraz aksykabtagenem cyloleucelem w ramach programu lekowego B.12. (w 2022 r. w ramach programu lekowego B.93.) skierowane jest do osób w wieku co najmniej 18 lat chorych na chłoniaki z dużych komórek B, u których odnotowano niepowodzenie co najmniej dwóch linii liczenia systemowego. Stan zdrowia pacjentów objętych programem powinien w oce-

nie lekarza prowadzącego rokować przeżycie co najmniej 3 miesiące bez zastosowania terapii CAR-T.

Maksymalny czas opieki w ramach programu lekowego wynosi 12 miesięcy od daty podania leku. W tym okresie co 3 miesiące monitorowana jest skuteczność leczenia w ramach wizyt kontrolnych.

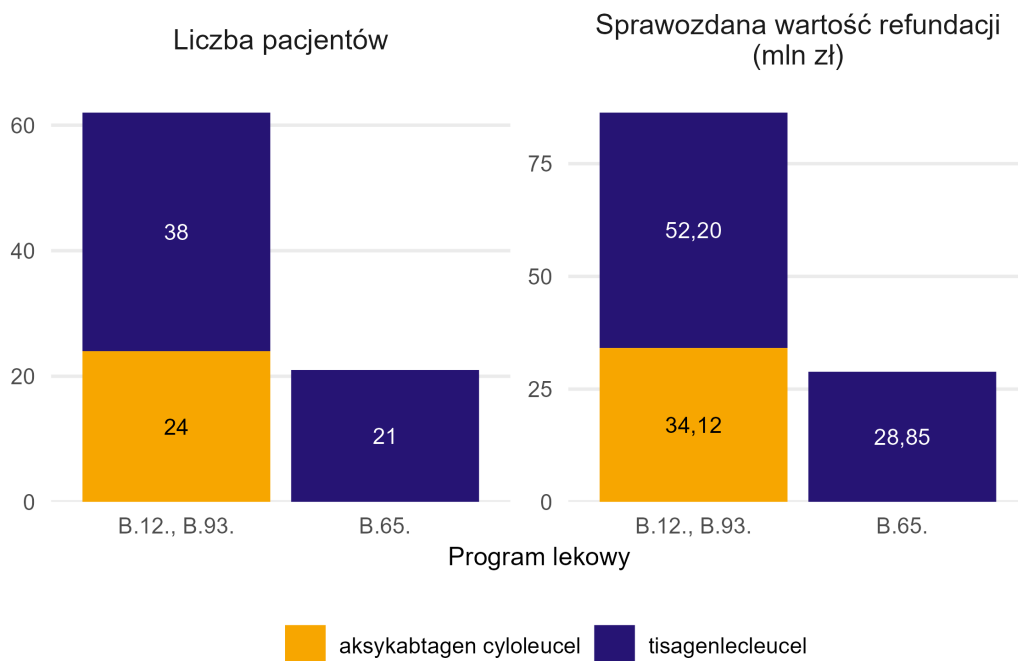
Analogicznie jak w przypadku programu lekowego B.65., pacjenci są ściśle monitorowani pod kątem wystąpienia CRS w ciągu pierwszych 10 dni od podania leku, po tym czasie o dalszym monitorowaniu decyduje lekarz.

1.1.3 Podsumowanie funkcjonowania programów lekowych

Według danych z komunikatu SWIAD do końca czerwca 2023 r. w Polsce sprawozdano zastosowanie terapii CAR-T u 83 pacjentów (Wykres 1.1). Łączna sprawozdana wartość re-

fundacji leków wyniosła 115,2 mln zł³. Przeprowadzenie terapii CAR-T sprawozdawało 9 świadczeniodawców z 7 województw.

Wykres 1.1: Liczba pacjentów oraz sprawozdana wartość refundacji tisagenlecleucelu oraz aksykabtagenu cyloleucelu na podstawie danych z komunikatu SWIAD



Źródło: opracowanie własne na podstawie danych NFZ

³Uwzględniono wyłącznie dane ze sprawozdaną kwotą refundacji. Wartość refundacji odnosi się do świadczeń sprawozdanych, niekoniecznie rozliczonych.

1.2 Podsumowanie danych NFZ o wynikach klinicznych terapii CAR-T

W niniejszej sekcji przedstawiono podsumowanie dostępnych danych z systemu Centrali NFZ dot. wyników klinicznych pacjentów po zastosowaniu terapii CAR-T. W pierwszej części zaprezentowano dane o śmiertelności wszystkich pacjentów, u których zastosowano terapię CAR-T. Należy zwrócić uwagę, iż informacje o zgonie pacjenta nie uwzględniają informacji o przyczynie zgonu i odnoszą się do zgonu z dowolnej przyczyny. Za końcowy moment posiadanych przez Centralę NFZ informacji o zgonach pacjentów przyjęto datę 31.08.2023 r.

Następnie dla każdej substancji i dla każdego programu lekowego, przedstawiono szczegółowe dane dotyczące charakterystyk pacjentów oraz funkcjonowania programu lekowego. Dodatkowo zamieszczono wyniki analizy danych z systemu SMPT dot. wystę-

powania powikłań leczenia oraz progresji lub remisji choroby.

Przedstawione dane odnoszą się do pacjentów, którym podano leki: Kymriah (kod GTIN: 05909991384388) oraz Yescarta (kod GTIN: 05909991438487) w ramach programów lekowych: leczenia chorych na ostrą białaczkę limfoblastyczną (B.65.) oraz leczenia chorych na chłoniaki B-komórkowe (B.93. w 2022 r. i B.12. w 2023 r.). Uwzględniono dane sprawozdane komunikatem SWIAD⁴, a także pobrano dane z systemu SMPT dot. leczenia w ramach ww. programów lekowych⁵. Należy zwrócić uwagę, iż w związku ze zniesieniem obowiązku wprowadzania danych w systemie SMPT na czas zagrożenia epidemicznego lub epidemii⁶, dane z systemu SMPT mogą być niekompletne.

Tabela 1.2: Śmiertelność pacjentów po zastosowaniu terapii CAR-T wg liczby dni od podania leku. Uwzględniano wyłącznie pacjentów, dla których zachowany był pełny okres obserwacji. Jako końcową datę obserwacji przyjęto 31.08.2023 r.

Substancja czynna	Program lekowy	10 dni	30 dni	90 dni	180 dni
tisagenlecleucel	B.65.	0% (0/21)	4,8% (1/21)	5,0% (1/20)	35,7% (5/14)
tisagenlecleucel	B.12., B.93.	2,6% (1/39)	5,1% (2/39)	16,7% (6/36)	37,9% (11/29)
aksykabtagen cytorelucel	B.12., B.93.	0% (0/26)	3,8% (1/26)	21,7% (5/23)	50% (8/16)

Źródło: opracowanie własne na podstawie danych NFZ

⁴Tisagenlecleucel w programie lekowym B.93. i B.12. — świadczenia sprawozdane z kodem produktu 5.08.09.0000207 w ramach zakresów: 03.0001.393.02 i 03.0001.312.03; aksykabtagen cytorelucel w programie lekowym B.93. i B.12. — świadczenia sprawozdane z kodem produktu 5.08.09.0000226 w ramach zakresów: 03.0001.393.02 i 03.0001.312.03; tisagenlecleucel w programie lekowym B.65. — świadczenia sprawozdane z kodem produktu 5.08.09.0000207 w ramach zakresu 03.0001.365.02.

⁵Odrzucono pacjentów, którzy pojawiali się w danych z systemu SMPT, ale nie mieli uzupełnionej daty podania leku i jednocześnie nie pojawiali się w danych z komunikatu SWIAD.

⁶Ustawa z dnia 14 sierpnia 2020 r. o zmianie niektórych ustaw w celu zapewnienia funkcjonowania ochrony zdrowia w związku z epidemią COVID-19 oraz po jej ustaniu (Dz.U. 2020 poz. 1493)

W przypadku terapii tisagenlecleucelem w programie lekowym leczenia chorych na chłoniaki B-komórkowe (B.12., B.93.), spośród 36 pacjentów, dla których możliwe było zachowanie 90-dniowego okresu obserwacji po podaniu leku, 6 pacjentów zmarło w ciągu 90

dni od podania leku. W okresie 180 dni od podania leku, spośród 29 pacjentów, dla których możliwe było zachowanie pełnego 180-dniowego okresu obserwacji, 11 pacjentów zmarło.

Tisagenlecleucel w programie lekowym leczenia chorych na ostrą białaczkę limfoblastyczną

W niniejszej części przedstawiono dane dot. pacjentów, u których zastosowano terapię tisagenlecleucelem w ramach programu lekowego leczenia ostrej białaczki limfoblastycznej (B.65.). Analizowana populacja obej-

muje 21 pacjentów, którym w latach 2021–2023 podano lek Kymriah. Podanie leku zostało sprawozdane przez 4 świadczeniodawców z 4 województw (Tabela 1.3).

Tabela 1.3: Liczba pacjentów, którym podano tisagenlecleucel w programie lekowym leczenia chorych na ostrą białaczkę limfoblastyczną wg świadczeniodawców

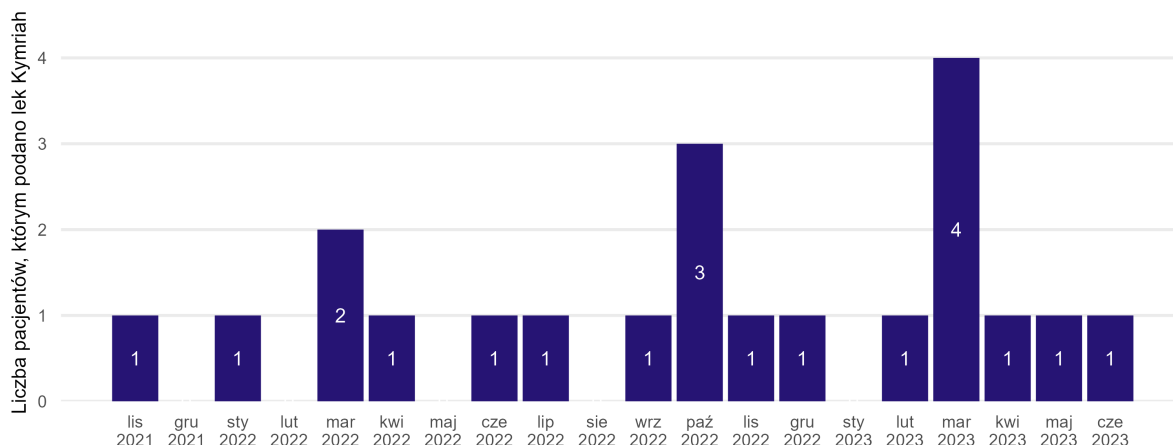
Woj. świadczeniodawcy	Kod świadczeniodawcy	Nazwa świadczeniodawcy	Liczba pacjentów
Dolnośląskie	3101109	Uniwersytecki Szpital Kliniczny im. Jana Mikulicza-Radeckiego we Wrocławiu	17
Kujawsko-pomorskie	20000671	Szpital Uniwersytecki nr 1 im. dr. Antoniego Jurasza w Bydgoszczy	2
Śląskie	126/100035	Narodowy Instytut Onkologii im. Marii Skłodowskiej-Curie Państwowy Instytut Badawczy	1
Wielkopolskie	150003181	Uniwersytecki Szpital Kliniczny w Poznaniu	1

Źródło: opracowanie własne na podstawie danych NFZ

Pierwsze podanie leku nastąpiło w listopadzie 2021 r. W całym okresie obserwacji miesięczna liczba pacjentów otrzymujących tisagenlecleucel pozostawała na podobnym

poziomie (Wykres 1.2). Najwięcej pacjentów skorzystało z programu lekowego w marcu 2023 r.

Wykres 1.2: Liczba pacjentów, którym podano tisagenlecleucel w ramach programu lekowego leczenia chorych na ostrą białaczkę limfoblastyczną wg daty podania leku

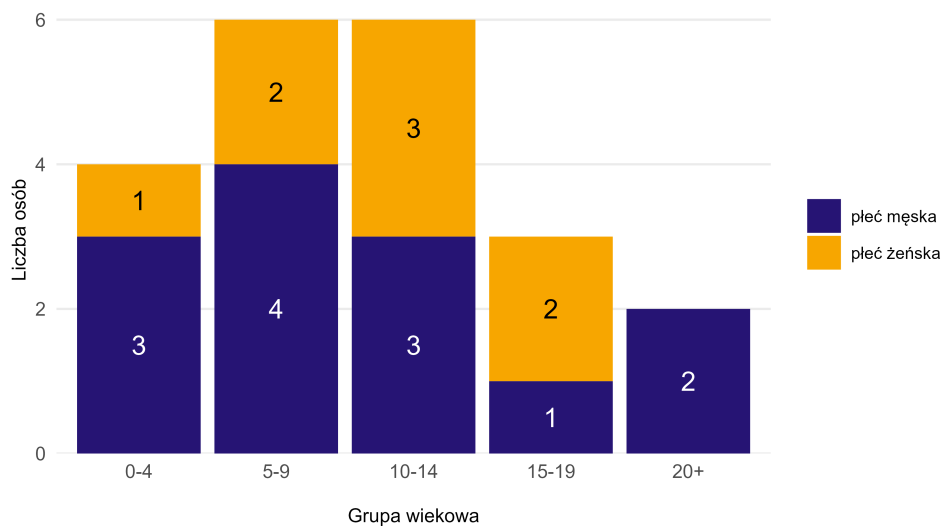


Źródło: opracowanie własne na podstawie danych NFZ

Mediana wieku pacjentów wyniosła 10 lat (11 lat dla płci żeńskiej, 9 lat dla płci męskiej).

Osoby płci męskiej stanowiły 63% badanej populacji (Wykres 1.3).

Wykres 1.3: Rozkład wieku i płci w analizowanej populacji pacjentów, którym podano tisagenlecleucel w ramach programu lekowego leczenia chorych na ostrą białaczkę limfoblastyczną

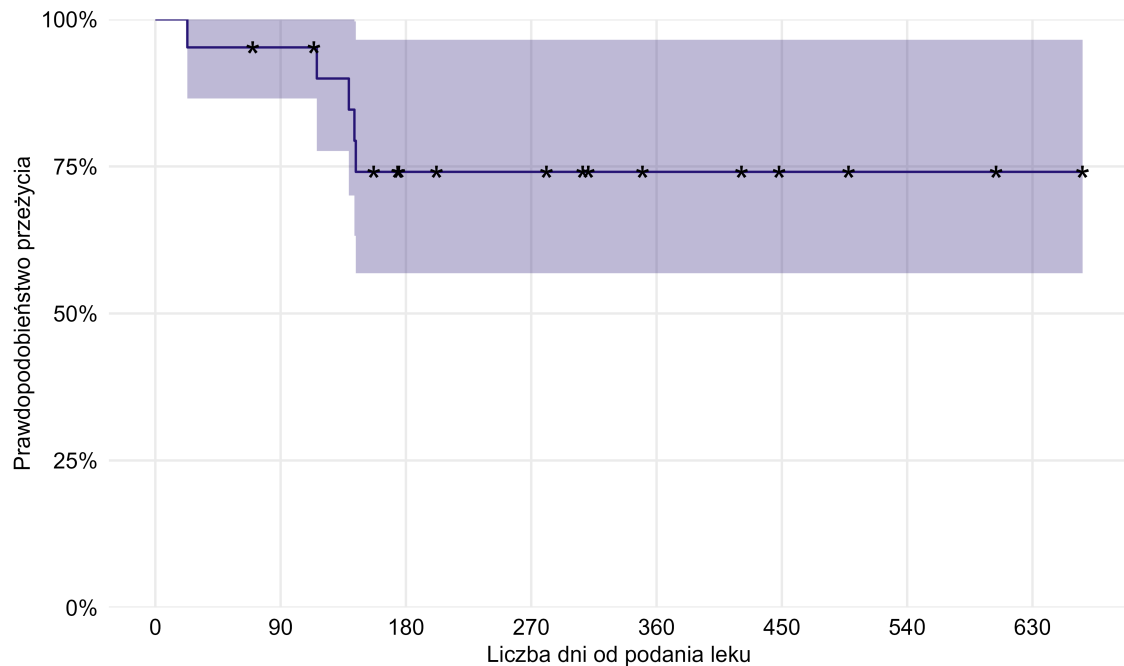


Źródło: opracowanie własne na podstawie danych NFZ

Wśród pacjentów, dla których możliwe było obserwowanie wystąpienia zgonu w okresie 60 dni po podaniu leku (tj. pacjenci, którym podano lek przed 3.07.2023 r. = 21 pacjentów), 1 osoba (4,8%) zmarła w tym okre-

sie. Analogicznie dla okresu 90 dni po podaniu leku, śmiertelność wynosiła 5% (1/20). Na Wykresie 1.4 przedstawiono oszacowane prawdopodobieństwa przeżycia pacjentów w zależności od czasu od podania leku.

Wykres 1.4: Oszacowanie funkcji przeżycia (estymator Kaplana-Meiera) wraz z 95% przedziałami ufności, w zależności od czasu od podania leku dla pacjentów, którym podano tisa-genlecleucel w ramach programu lekowego leczenia chorych na ostrą białaczkę limfoblastyczną. Gwiazdkami oznaczono obserwacje ocenzone, tj. pacjentów, dla których w danym momencie skończył się okres obserwacji. Za koniec okresu obserwacji przyjęto datę 31.08.2023 r.



Źródło: opracowanie własne na podstawie danych NFZ

Podjęto również próbę analizy danych z systemu SMPT, jednak z uwagi na brak kompletności danych w systemie (m.in. brak wprowadzonych danych z punktów kontrolnych

przez świadczeniodawców), analiza powikłań terapii oraz przypadków remisji/progresji choroby w przypadku tego programu lekowego nie była możliwa.

Tisagenlecleucel w programie lekowym leczenia chorych na chłoniaki B-komórkowe

W niniejszej części przedstawiono dane dot. pacjentów, u których zastosowano terapię tisagenlecleucelem w ramach programu lekowego leczenia chorych na chłoniaki B-komórkowe (zał. B.12., wcześniej: B.93.). Ana-

lizowana populacja obejmuje 39 pacjentów, którym w latach 2022–2023 podano lek Kymriah. Podanie leku zostało sprawozdane przez 8 świadczeniodawców z 6 województw (Tabela 1.4).

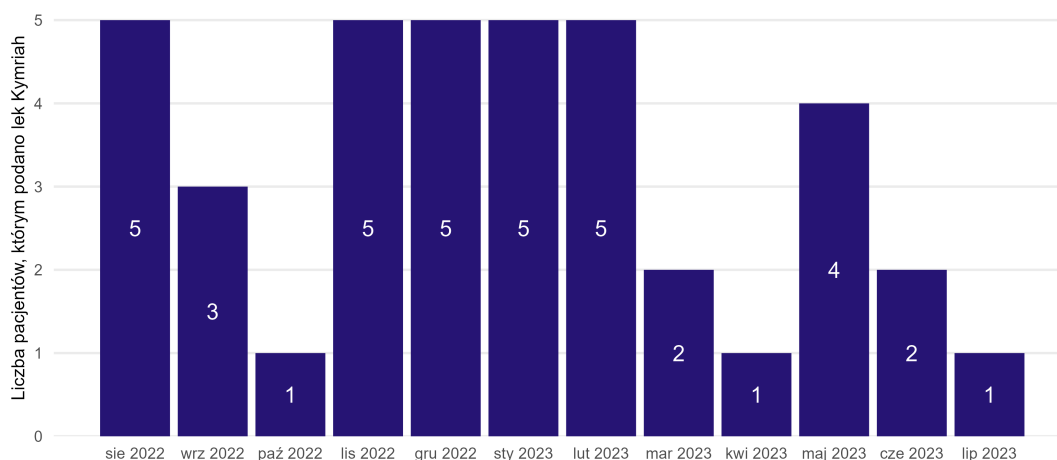
Tabela 1.4: Liczba pacjentów, którym podano tisagenlecleucel w programie lekowym leczenia chorych na chłoniaki B-komórkowe wg świadczeniodawców

Woj. świadczeniodawcy	Kod świadczeniodawcy	Nazwa świadczeniodawcy	Liczba pacjentów
Dolnośląskie	3101109	Uniwersytecki Szpital Kliniczny Im. Jana Mikulicza-Radeckiego We Wrocławiu	1
Łódzkie	110043	Wojewódzkie Wielospecjalistyczne Centrum Onkologii i Traumatologii im. M. Kopernika w Łodzi	2
Mazowieckie	70001194	Uniwersyteckie Centrum Kliniczne Warszawskiego Uniwersytetu Medycznego	10
Mazowieckie	70001274	Instytut Hematologii i Transfuzjologii	6
Pomorskie	000005	Uniwersyteckie Centrum Kliniczne	2
Śląskie	121/101005	Samodzielny Publiczny Szpital Kliniczny im. Andrzeja Mielęckiego Śląskiego Uniwersytetu Medycznego w Katowicach	6
Śląskie	126/100035	Narodowy Instytut Onkologii im. Marii Skłodowskiej-Curie Państwowy Instytut Badawczy	7
Wielkopolskie	150003181	Uniwersytecki Szpital Kliniczny w Poznaniu	5

Źródło: opracowanie własne na podstawie danych NFZ

Pierwsze podanie leku nastąpiło w sierpniu 2022 r. W całym okresie obserwacji miesięczna liczba pacjentów otrzymujących tisa-

genlecleucel pozostawała na podobnym poziomie (Wykres 1.5).

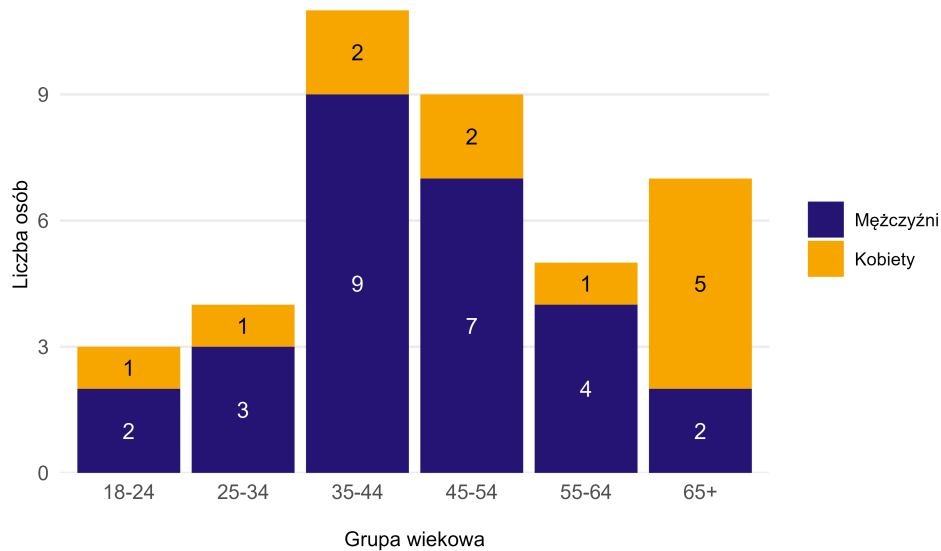
Wykres 1.5: Liczba pacjentów, którym podano tisagenlecleucel w ramach programu lekowego leczenia chorych na chłoniaki B-komórkowe wg daty podania leku

Źródło: opracowanie własne na podstawie danych NFZ

Ponad połowa pacjentów w momencie podania leku była w wieku 35–54 lata (Wykres 1.6). Mediana wieku pacjentów wyniosła 45 lat

(51,5 lat dla kobiet, 44 lata dla mężczyzn). Mężczyźni stanowili 69% badanej populacji.

Wykres 1.6: Rozkład wieku i płci w analizowanej populacji pacjentów, którym podano tisagenlecleucel w ramach programu lekowego leczenia chorych na chłoniaki B-komórkowe

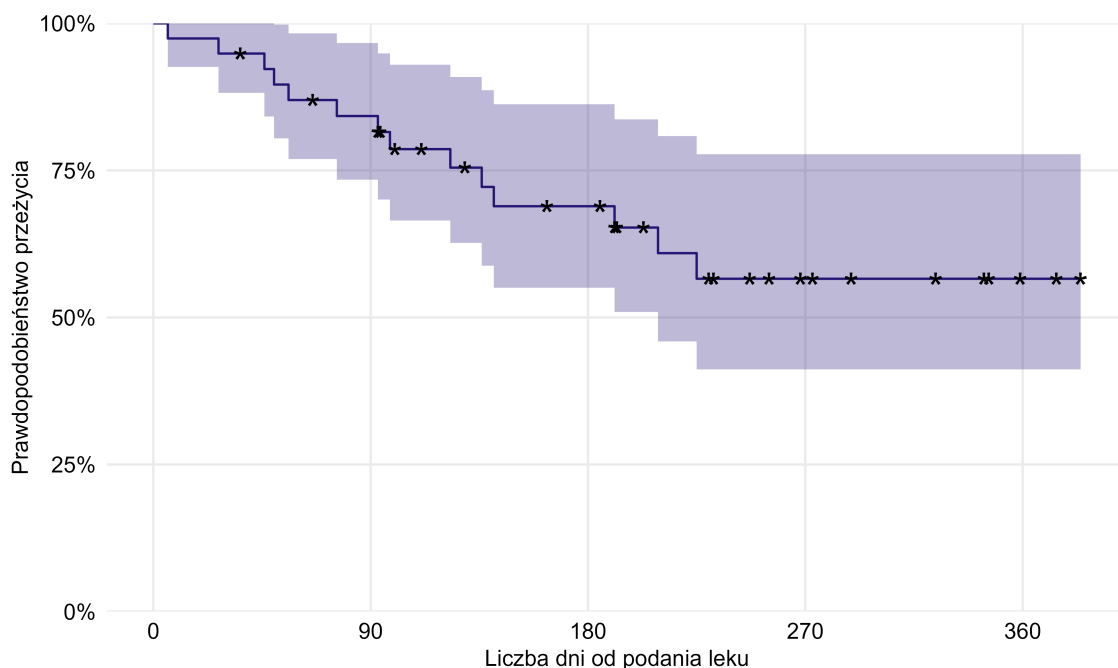


Źródło: opracowanie własne na podstawie danych NFZ

Wśród pacjentów, dla których możliwe było obserwowanie wystąpienia zgonu w okresie 60 dni po podaniu leku (tj. pacjenci, którym podano lek przed 3.07.2023 = 38 pacjentów), 5 osób (13%) zmarło w tym okre-

sie. Analogicznie dla okresu 90 dni po podaniu leku, śmiertelność wynosiła 14% (5/36). Na Wykresie 1.7 przedstawiono oszacowane prawdopodobieństwa przeżycia pacjentów w zależności od czasu od podania leku.

Wykres 1.7: Oszacowanie funkcji przeżycia (estymator Kaplana-Meiera) wraz z 95% przedziałami ufności, w zależności od czasu od podania leku dla pacjentów, którym podano tisagenlecleucel w ramach programu lekowego leczenia chorych na chłoniaki B-komórkowe. Gwiazdkami oznaczono obserwacje ocenzone, tj. pacjentów, dla których w danym momencie skończył się okres obserwacji. Za koniec okresu obserwacji przyjęto datę 31.08.2023 r.



Źródło: opracowanie własne na podstawie danych NFZ

Przeprowadzono również analizę powikłań terapii oraz przypadków remisji/progresji choroby u pacjentów po podaniu tisagenlecleucelu w programie lekowym leczenia chorych na chłoniaki B-komórkowe. Uwzględniono pacjentów, których dane były uzupełnione w systemie SMPT i jednocześnie dla tych pacjentów sprawozdano świadczenia w programie lekowym w komunikacie SWIAD. Analizowana próba składa się z 22 pacjentów (56% wyjściowej populacji). Wśród tych pacjentów:

- u (co najmniej) 8 pacjentów (36%) wystąpił CRS,
- u (co najmniej) 8 pacjentów (36%) nastąpiła remisja choroby,

piła remisja choroby,

- u (co najmniej) 6 pacjentów (27%) nastąpiła wznova/progresja choroby.

Należy mieć na uwadze, że w związku z brakiem dostępności kompletnych danych w systemie SMPT (np. uzupełniona tylko część punktów kontrolnych), nie jest dostępna pełna informacja, u których pacjentów nastąpiła remisja choroby, progresja/wznova choroby lub powikłania po podaniu leku. Przedstawione odsetki odnoszą się zatem do minimalnego odsetka pacjentów, u których wystąpił dany stan.

Aksykabtagen cyloleucel w programie lekowym leczenia chorych na chłoniaki B-komórkowe

W niniejszej części przedstawiono dane dot. pacjentów, u których zastosowano terapię aksykabtagenem cyloleucelem w ramach programu lekowego leczenia chorych na chłoniaki B-komórkowe (zał. B.12., wcześniej: B.93.). Analizowana populacja obejmuje 26 pacjentów, którym w latach 2022–2023 podano lek Yescarta. Podanie leku zostało sprawozdane przez 2 świadczeniodawców z 2 województw (Tabela 1.5).

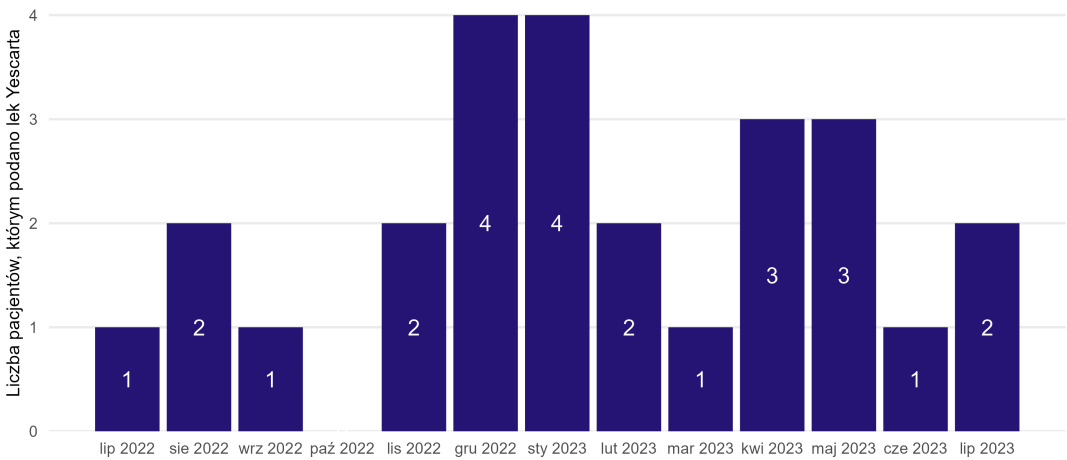
Tabela 1.5: Liczba pacjentów, którym podano aksykabtagen cyloleucel w programie lekowym leczenia chorych na chłoniaki B-komórkowe wg świadczeniodawców

Woj. świadczeniodawcy	Kod świadczeniodawcy	Nazwa świadczeniodawcy	Liczba pacjentów
Śląskie	126/100035	Narodowy Instytut Onkologii im. Marii Skłodowskiej-Curie Państwowy Instytut Badawczy	7
Wielkopolskie	150003181	Uniwersytecki Szpital Kliniczny w Poznaniu	19

Źródło: opracowanie własne na podstawie danych NFZ

Pierwsze podanie leku nastąpiło w lipcu 2022 r. W całym okresie obserwacji miesięczna liczba pacjentów otrzymujących aksykabtagen cyloleucel pozostawała na podobnym poziomie (Wykres 1.8).

Wykres 1.8: Liczba pacjentów, którym podano aksykabtagen cyloleucel w ramach programu lekowego leczenia chorych na chłoniaki B-komórkowe wg daty podania leku

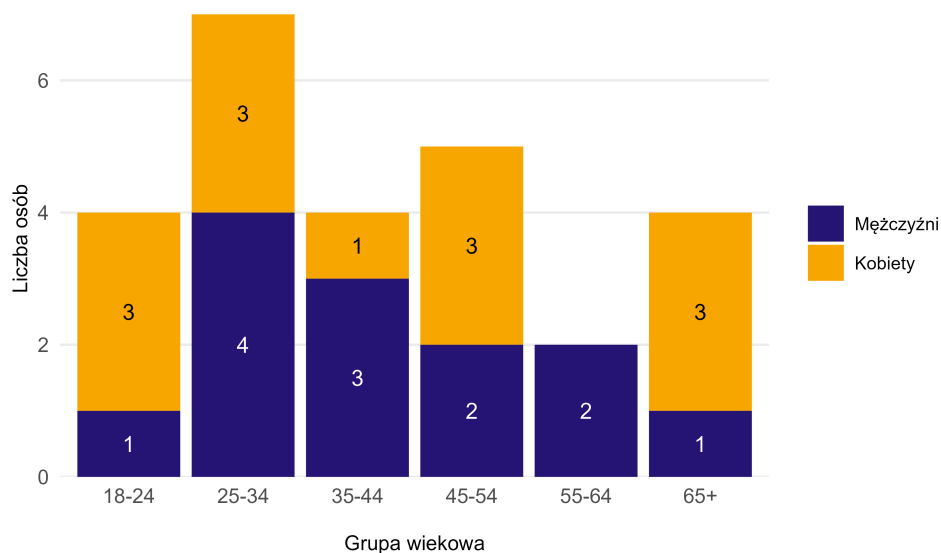


Źródło: opracowanie własne na podstawie danych NFZ

Mediana wieku w populacji pacjentów wynosiła 40 lat (44 lata dla kobiet, 40 lat dla męż-

czyzn). Kobiety stanowiły 50% badanej populacji (Wykres 1.9).

Wykres 1.9: Rozkład wieku i płci w analizowanej populacji pacjentów, którym podano aksykabtagen cyloleucel w ramach programu lekowego leczenia chorych na chłoniaki B-komórkowe

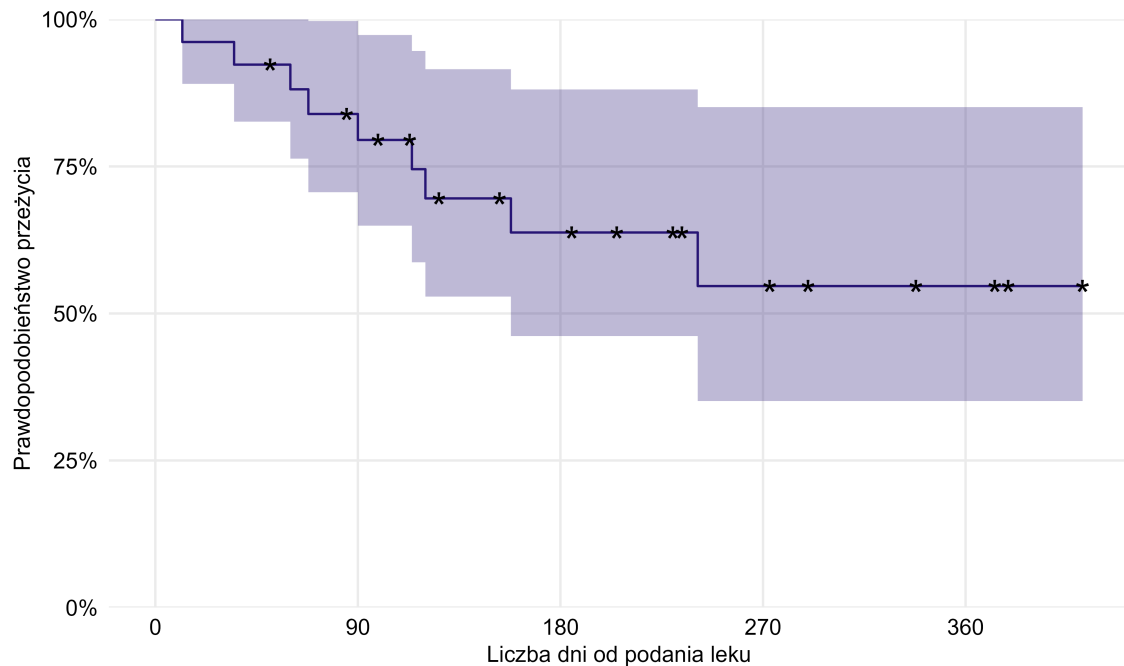


Źródło: opracowanie własne na podstawie danych NFZ

Wśród pacjentów, dla których możliwe było obserwowanie wystąpienia zgonu w okresie 60 dni po podaniu leku (tj. pacjenci, którym podano lek przed 3.07.2023 = 24 pacjentów), 3 osoby (12,5%) zmarły w tym okre-

sie. Analogicznie dla okresu 90 dni po podaniu leku, śmiertelność wynosiła 21,7% (5/23). Na Wykresie 1.10 przedstawiono oszacowane prawdopodobieństwa przeżycia pacjentów w zależności od czasu od podania leku.

Wykres 1.10: Oszacowanie funkcji przeżycia (estymator Kaplana-Meiera) wraz z 95% przedziałami ufności, w zależności od czasu od podania leku dla pacjentów, którym podano akcykabtagen cytoleucel w ramach programowego leczenia chorych na chłoniaki B-komórkowe. Gwiazdkami oznaczono obserwacje ocenzone, tj. pacjentów, dla których w danym momencie skończył się okres obserwacji. Za koniec okresu obserwacji przyjęto datę 31.08.2023 r.



Źródło: opracowanie własne na podstawie danych NFZ

Przeprowadzono również analizę powikłań terapii oraz przypadków remisji/progresji choroby u pacjentów po podaniu akcykabtagenu cytoleucelu w programie lekowym leczenia chorych na chłoniaki B-komórkowe. Uwzględniono pacjentów, których dane były uzupełnione w systemie SMPT i jednocześnie dla tych pacjentów sprawozdano świadczenia w programie lekowym w komunikacie SWIAD. Analizowana próba składa się z 22 pacjentów (85% wyjściowej populacji). Wśród tych pacjentów:

- u (co najmniej) 10 pacjentów (45%) wystąpił CRS,
- u (co najmniej) 2 pacjentów (9%) nastą-

piła remisja choroby,

- u (co najmniej) 1 pacjenta (4,5%) nastąpiła wznova/progresja choroby.

Należy mieć na uwadze, że w związku z brakiem dostępności kompletnych danych w systemie SMPT (np. uzupełniona tylko część punktów kontrolnych), nie jest dostępna pełna informacja, u których pacjentów nastąpiła remisja choroby, progresja/wznova choroby lub powikłania po podaniu leku. Przedstawione odsetki odnoszą się zatem do minimalnego odsetka pacjentów, u których wystąpił dany stan.