

NFZ

Narodowy Fundusz Zdrowia



NFZ o zdrowiu

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

Warszawa, listopad 2023

ostatnia aktualizacja danych: sierpień 2024

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, aksykabtagen cytoleucel i breksukabtagen autoleucel 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 do-

stępna w ramach programu lekowego leczenia chorych na chłoniaki B-komórkowe². Początkowo 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.

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
akcykabtagen cyloleucel	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 autoleucel	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), Yescarta (akcykabtagnu cyloleucelu) lub Tecartus (breksukabtagnu autoleucelu), tj. zastosowanie terapii dla jednego pacjenta, wynosi obecnie 1,4 mln zł (stan na sierpień 2024). Poza wspomnianymi lekami w polskim systemie refundacji programów lekowych istnieją 2 inne częstotczo-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) oraz imlifidaza stosowana w odczulaniu wysoko immunizowanych dorosłych potencjalnych biorców przeszczepu nerki (1,5 mln zł za opakowanie). W 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. Lek Tecartus został ujęty w wykazie TLK (później uwzględniony w wykazie technologii o wysokim poziomie innowacyjności — TLI) we wskazaniu:

nawrotowy lub oporny na leczenie chłoniak z komórek płaszczu u osób dorosłych, które uprzednio otrzymały co najmniej dwie linie leczenia systemowego, w tym inhibitor kinazy tyrozynowej Bruton. 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, akcykabtagn cyloleuel oraz breksukabtagn autoleucel 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. Objawy związane z CRS mogą być różnorodne: od łagodnych grypopodobnych do ciężkich zagrażających życiu. Pacjenci są ściśle monitorowani pod kątem wystąpienia CRS w ciągu pierw-

szych 10 dni od podania leku, po tym czasie o dalszym monitorowaniu decyduje lekarz.

1.1.2 Tisagenlecleucel, aksykabtagen cyloleucel i breksukabtagen autoleucel 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 leczenia systemowego. Stan zdrowia pacjentów objętych programem powinien w ocenie lekarza prowadzącego rokować przeżycie co najmniej 3 miesiące bez zastosowania terapii CAR-T.

Ponadto w programie lekowym dostępna jest terapia CAR-T z zastosowaniem breksukabtagenu autoleucelu w przypadku dorosłych chorych na opornego lub nawrotowego chłoniaka z komórek płaszczą (MCL). Pacjenci powinni być po co najmniej dwóch liniach leczenia systemowego (w tym po leczeniu inhibitorem kinazy tyrozynowej Brutona), a ich stan zdrowia powinien w ocenie 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.

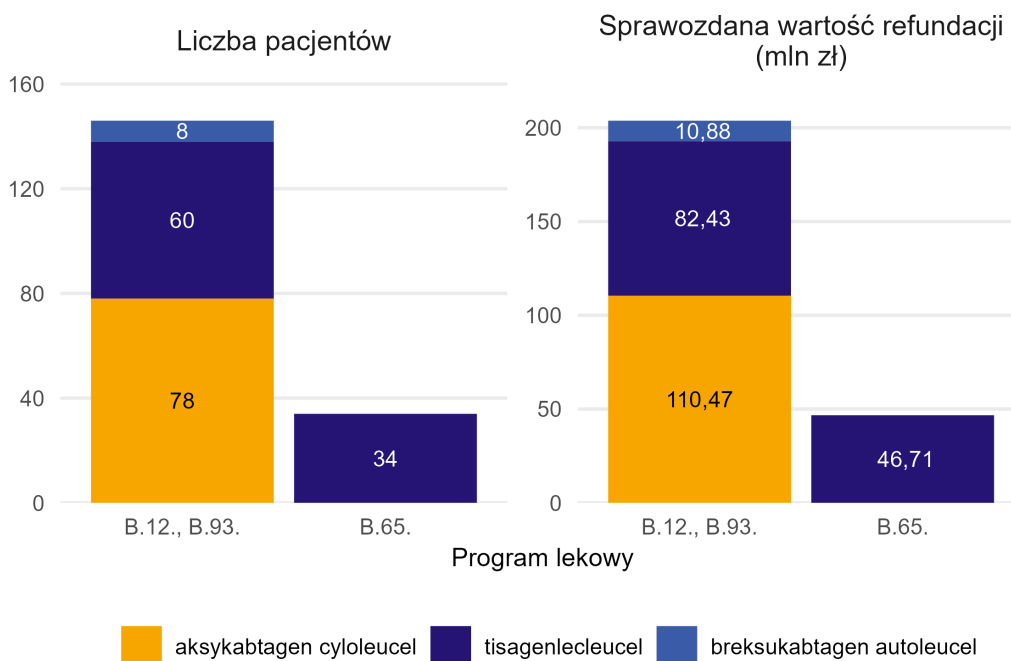
1.1.3 Podsumowanie funkcjonowania programów lekowych

Według danych z komunikatu SWIAD do końca maja 2024 r. w Polsce sprawozdano zastosowanie terapii CAR-T u 180 pacjentów (Wykres 1.1). Łączna sprawozdana wartość re-

fundacji leków wyniosła 250 mln zł³. Przeprowadzenie terapii CAR-T sprawozdawało 9 świadczeniodawców z 7 województw.

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

Wykres 1.1: Liczba pacjentów oraz sprawozdana wartość refundacji terapii CAR-T na podstawie danych z komunikatu SWIAD w okresie wrzesień 2021 – maj 2024



Źródło: opracowanie własne na podstawie danych NFZ

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 3.07.2024 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. występowania 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,

⁴Tisagenlecleucel w programie lekowym B.93. i B.12. — świadczenia sprawozdane kodem produktu 5.08.09.0000207 w zakresach: 03.0001.393.02 i 03.0001.312.03; aksykabtagen cyloleucel w programie lekowym B.93./B.12. — świadczenia sprawozdane kodem produktu 5.08.09.0000226 w zakresach: 03.0001.393.02 i 03.0001.312.03; tisagenlecleucel w programie lekowym B.65. — świadczenia sprawozdane kodem produktu 5.08.09.0000207 w zakresie 03.0001.365.02.

a także pobrano dane z systemu SMPT dot. leczenia w ramach ww. programów lekowych⁵ (zatem ogólna liczba pacjentów w niniejszej części raportu może różnić się od liczebności przedstawionych w Tabeli 1.2). Należy zwrócić

uwagę, iż w związku ze zniesieniem obowiązku wprowadzania danych w systemie SMPT na czas zagrożenia epidemicznego lub epidemii⁶ oraz opóźnieniami w sprawozdawczości, 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 3.07.2024 r.

Substancja czynna	Program lekowy	10 dni	30 dni	90 dni	180 dni
tisagenlecleucel	B.65.	2,9% (1/34)	5,9% (2/34)	8,8% (3/34)	20,0% (6/30)
tisagenlecleucel	B.12., B.93.	3,3% (2/61)	6,6% (4/61)	17,2% (10/58)	27,5% (14/51)
aksykabtagen cyloleucel	B.12., B.93.	0% (0/83)	2,4% (2/83)	16,9% (12/71)	25,5% (14/55)

Źródło: opracowanie własne na podstawie danych NFZ

W przypadku terapii tisagenlecleucelem w programie lekowym leczenia chorych na chłoniaki B-komórkowe (B.12., B.93.), spośród 58 pacjentów, dla których możliwe było zachowanie 90-dniowego okresu obserwacji po podaniu leku, 10 pacjentów zmarło w ciągu 90

dni od podania leku. W okresie 180 dni od podania leku, spośród 51 pacjentów, dla których możliwe było zachowanie pełnego 180-dniowego okresu obserwacji, 14 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 34 pacjentów, którym od września 2021 do maja 2024 podano lek Kymriah. Podanie leku zostało sprawozdane przez 5 świadczeniodawców z 5 województw (Tabela 1.3).

⁵Nie uwzględniano 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)

Tabela 1.3: Liczba pacjentów, którym podano tisagenlecleucel w programie lekowym leczenia chorych na ostrą białaczkę limfoblastyczną wg świadczeniodawców (wrzesień 2021 – maj 2024)

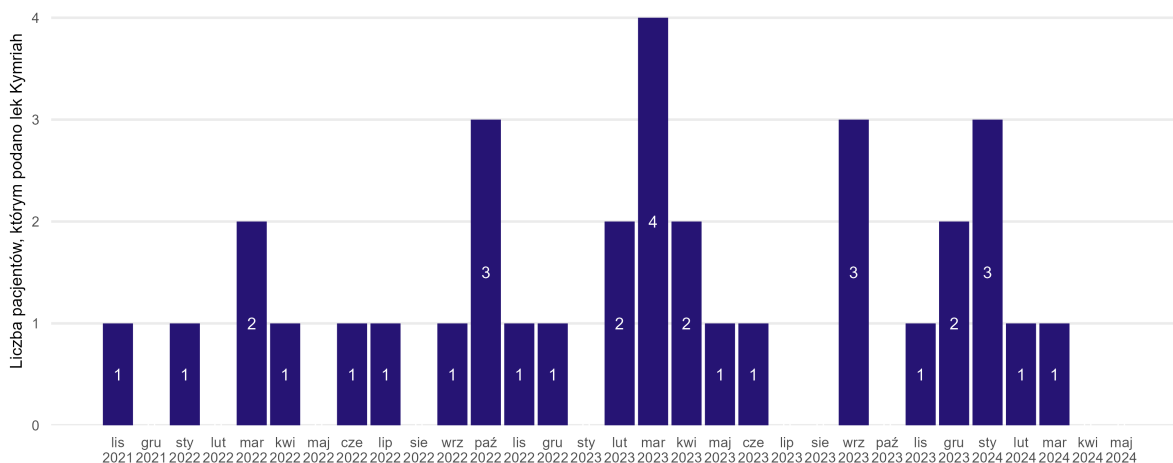
Woj. świadczeniodawcy	Kod świadczeniodawcy	Nazwa świadczeniodawcy	Liczba pacjentów
Dolnośląskie	3101109	Uniwersytecki Szpital Kliniczny im. Jana Mikulicza-Radeckiego we Wrocławiu	24
Kujawsko-pomorskie	20000671	Szpital Uniwersytecki nr 1 im. dr. Antoniego Jurasza w Bydgoszczy	4
Mazowieckie	70001194	Uniwersyteckie Centrum Kliniczne Warszawskiego Uniwersytetu Medycznego	2
Śląskie	126/100035	Narodowy Instytut Onkologii im. Marii Skłodowskiej-Curie Państwowy Instytut Badawczy	1
Wielkopolskie	150003181	Uniwersytecki Szpital Kliniczny w Poznaniu	3

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

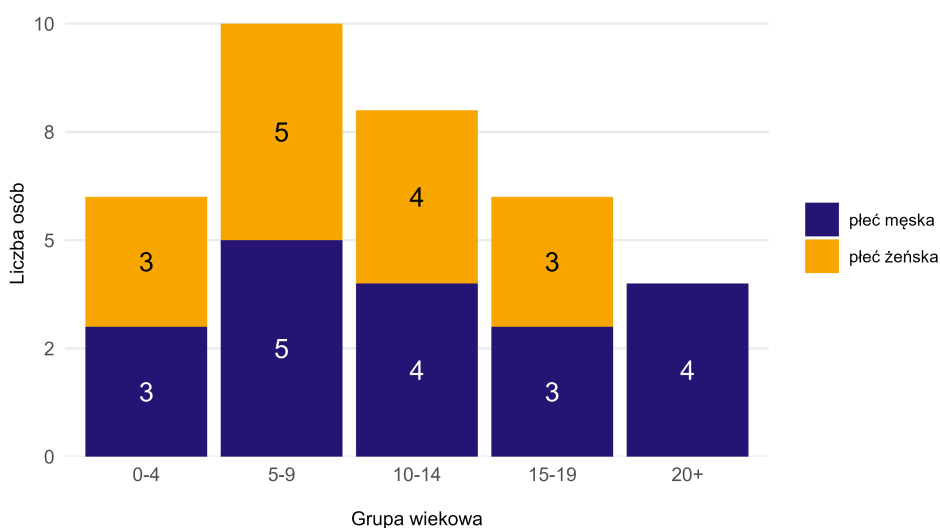


Źródło: opracowanie własne na podstawie danych NFZ

Mediana wieku pacjentów wyniosła 10,5 roku (8 lat dla płci żeńskiej, 11 lat dla płci mę-

skiej). Osoby płci męskiej stanowiły 56% 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 (wrzesień 2021 – maj 2024)

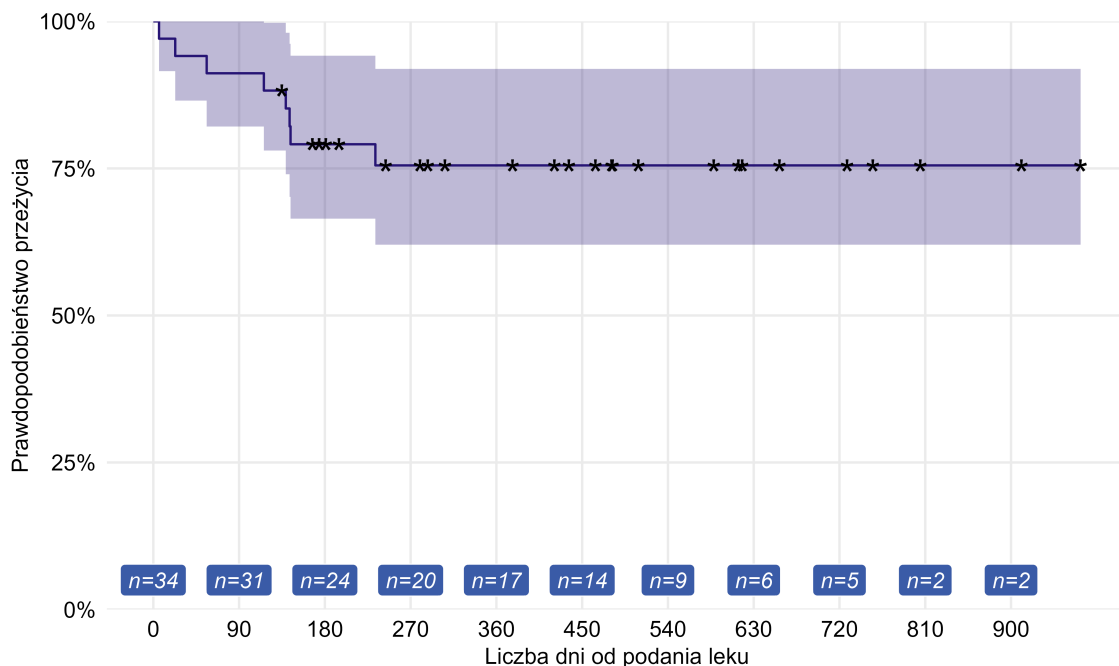


Źródło: opracowanie własne na podstawie danych NFZ

Wśród pacjentów, dla których możliwe było obserwowanie wystąpienia zgonu w okresie 60 dni po podaniu leku (tj. pacjenci, którym podano lek przed 5.05.2024 r. = 34 pacjentów), 3 osoby (8,8%) zmarły w tym okre-

sie. Analogicznie dla okresu 90 dni po podaniu leku, śmiertelność wynosiła 8,8% (3/34). 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 (wrzesień 2021 – maj 2024). Gwiazdkami oznaczono obserwacje ocenzone, tj. pacjentów, dla których w danym momencie skończył się okres obserwacji. Za koniec okresu obserwacji przyjęto datę 3.07.2024 r.



Źródło: opracowanie własne na podstawie danych NFZ

Przeprowadzono również analizę powikłań terapii oraz przypadków remisji/progresji choroby u pacjentów po podaniu tisa-genlecleucelu w programie lekowym leczenia chorych na ostrą białaczkę limfoblastyczną. 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 34 pacjentów (100% wyjściowej populacji). Wśród tych pacjentów:

- u (co najmniej) 24 pacjentów (71%) wystąpił CRS,
- u (co najmniej) 29 pacjentów (85%) na-

stąpiła remisja choroby,

- u (co najmniej) 4 pacjentów (12%) nastąpiła wznowa 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/wznowa choroby lub powikłania po podaniu leku. Przedstawione odsetki odnoszą się zatem do minimalnego odsetka pacjentów, u których wystąpił dany stan.

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 61 pacjentów, którym od maja 2022 do maja 2024 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 (maj 2022 – maj 2024)

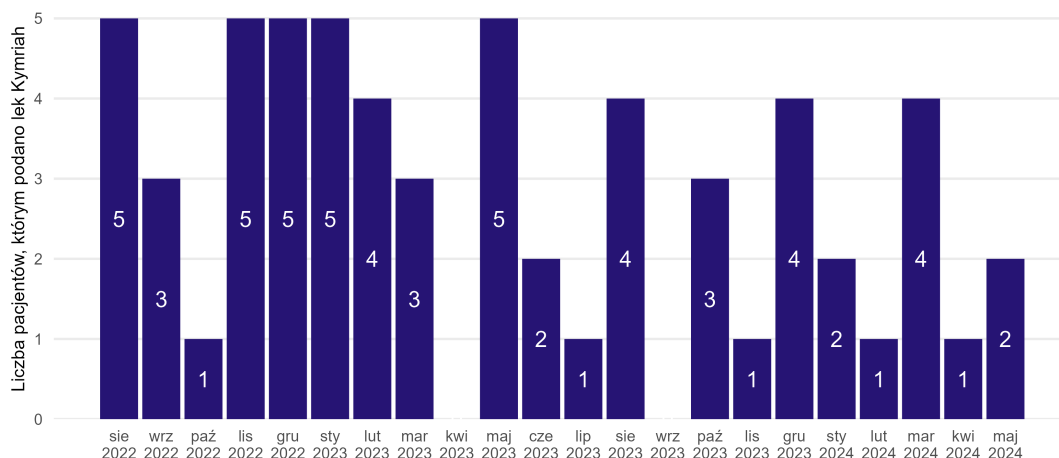
Woj. świadczeniodawcy	Kod świadczeniodawcy	Nazwa świadczeniodawcy	Liczba pacjentów
Dolnośląskie	3101109	Uniwersytecki Szpital Kliniczny Im. Jana Mikulicza-Radeckiego We Wrocławiu	5
Łódzkie	110043	Wojewódzkie Wielospecjalistyczne Centrum Onkologii i Traumatologii im. M. Kopernika w Łodzi	7
Mazowieckie	70001194	Uniwersyteckie Centrum Kliniczne Warszawskiego Uniwersytetu Medycznego	14
Mazowieckie	70001274	Instytut Hematologii i Transfuzjologii	6
Pomorskie	000005	Uniwersyteckie Centrum Kliniczne	5
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	9
Wielkopolskie	150003181	Uniwersytecki Szpital Kliniczny w Poznaniu	9

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

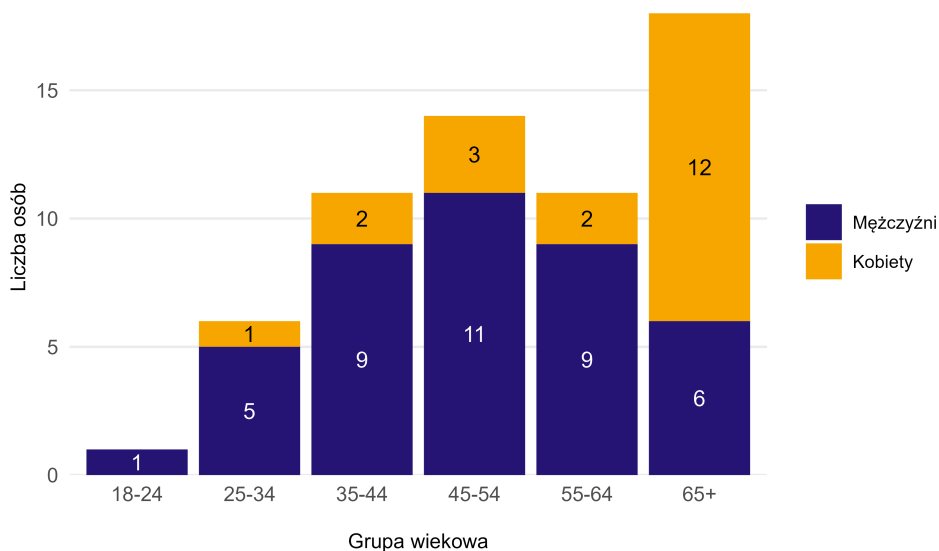


Źródło: opracowanie własne na podstawie danych NFZ

Niemal co trzeci pacjent korzystający z terapii był w wieku 65+ (Wykres 1.6). Mediana wieku pacjentów wyniosła 53 lata (65,5 roku

dla kobiet, 52 lata dla mężczyzn). Mężczyźni stanowili 67% 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 (maj 2022 – maj 2024)



Źródło: opracowanie własne na podstawie danych NFZ

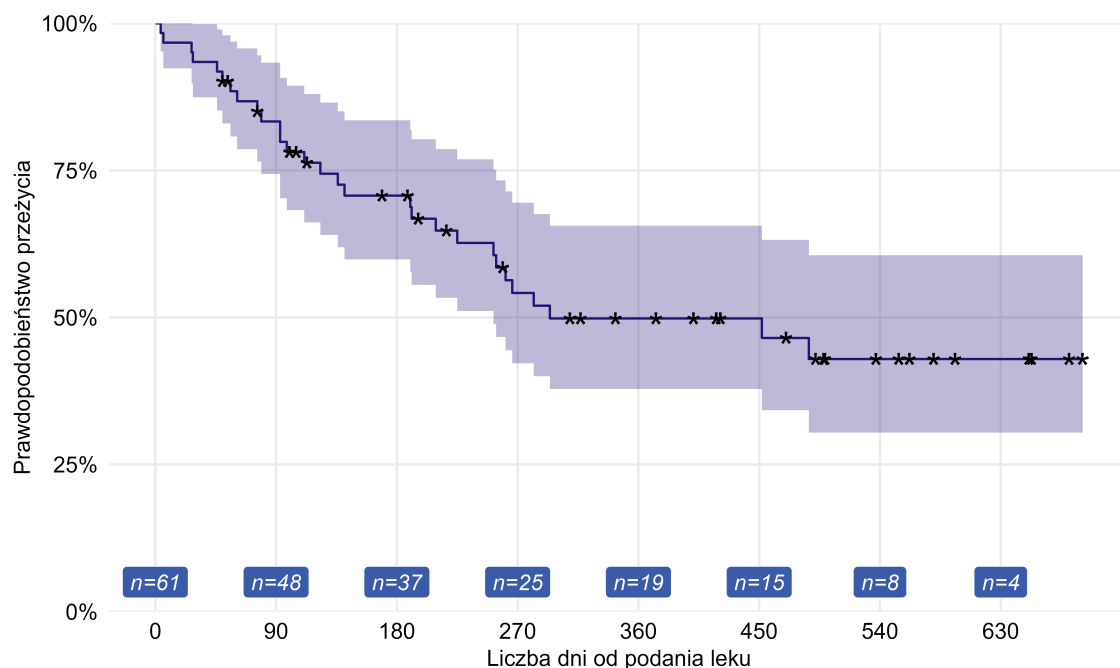
Wśród pacjentów, dla których możliwe było obserwowanie wystąpienia zgonu w okresie 60 dni po podaniu leku (tj. pacjenci, którym podano lek przed 5.05.2024 r. = 59

pacjentów), 7 osób (12%) zmarło w tym okresie. Analogicznie dla okresu 90 dni po podaniu leku, śmiertelność wynosiła 17% (10/58). Na Wykresie 1.7 przedstawiono oszacowane

prawdopodobieństwa przeżycia pacjentów w zależności od czasu od podania leku. Me-

diana czasu przeżycia pacjentów od podania leku wyniosła 294 dni.

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 (maj 2022 – maj 2024). Gwiazdkami oznaczono obserwacje ocenzone, tj. pacjentów, dla których w danym momencie skończył się okres obserwacji. Za koniec okresu obserwacji przyjęto datę 3.07.2024 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 56 pacjentów (92% wyjściowej populacji). Wśród tych pacjentów:

- u (co najmniej) 22 pacjentów (39%) wystąpił CRS,
- u (co najmniej) 18 pacjentów (32%) na-

stąpiła remisja choroby,

- u (co najmniej) 11 pacjentów (20%) nastąpiła wznowa/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/wznowa 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., wcze-

śniej: B.93.). Analizowana populacja obejmuje 83 pacjentów, którym od maja 2022 do maja 2024 podano lek Yescarta. Podanie leku zostało sprawozdane przez 5 świadczeniodawców z 4 województw (Tabela 1.5).

Tabela 1.5: Liczba pacjentów, którym podano aksykabtagen cyloleucel w programie lekowym leczenia chorych na chłoniaki B-komórkowe wg świadczeniodawców (maj 2022 – maj 2024)

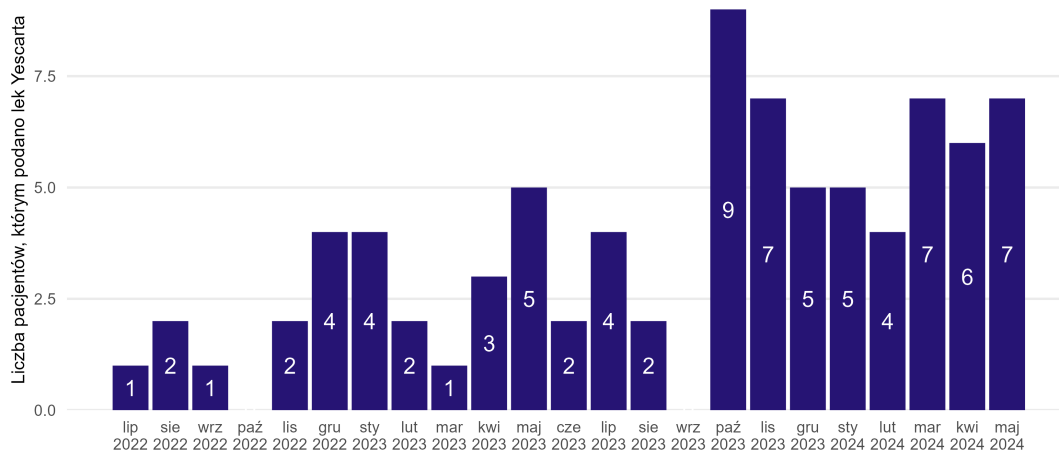
Woj. świadczeniodawcy	Kod świadczeniodawcy	Nazwa świadczeniodawcy	Liczba pacjentów
Łódzkie	110043	Wojewódzkie Wielospecjalistyczne Centrum Onkologii i Traumatologii im. M. Kopernika w Łodzi	2
Pomorskie	000005	Uniwersyteckie Centrum Kliniczne w Gdańsku	5
Śląskie	121/101005	Samodzielny Publiczny Szpital Kliniczny im. Andrzeja Mieleckiego Śląskiego Uniwersytetu Medycznego w Katowicach	8
Śląskie	126/100035	Narodowy Instytut Onkologii im. Marii Skłodowskiej-Curie Państwowy Instytut Badawczy	14
Wielkopolskie	150003181	Uniwersytecki Szpital Kliniczny w Poznaniu	54

Źródło: opracowanie własne na podstawie danych NFZ

Pierwsze podanie leku nastąpiło w lipcu 2022 r. Najwięcej pacjentów skorzystało z pro-

gramu lekowego w październiku 2023 r. (Wykres 1.8).

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

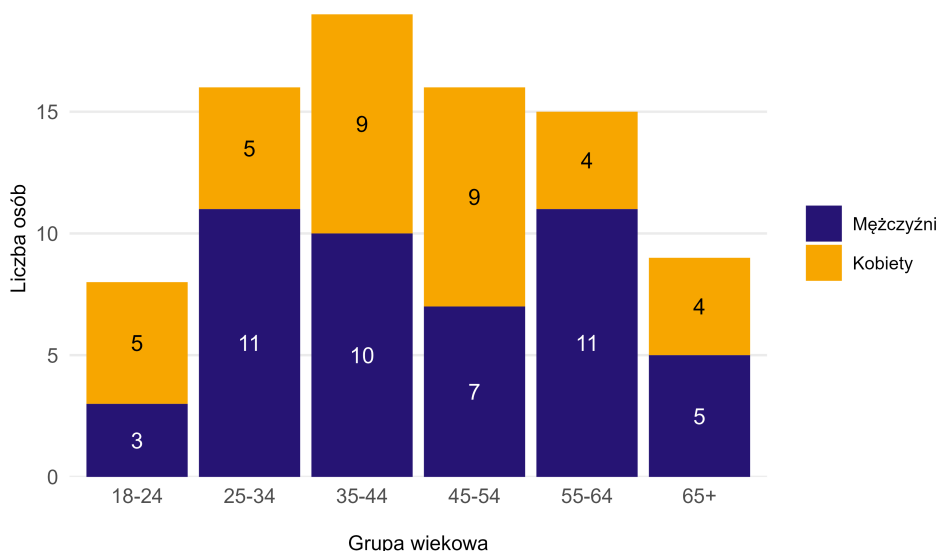


Źródło: opracowanie własne na podstawie danych NFZ

Mediana wieku w populacji pacjentów wynosiła 44 lata (44 lata dla kobiet, 44 lata dla

mężczyzn). Kobiety stanowiły 43% badanej populacji (Wykres 1.9).

Wykres 1.9: Rozkład wieku i płci w analizowanej populacji pacjentów, którym podano akcykabtagen cyloleucel w ramach programu lekowego leczenia chorych na chłoniaki B-komórkowe (maj 2022 – maj 2024)

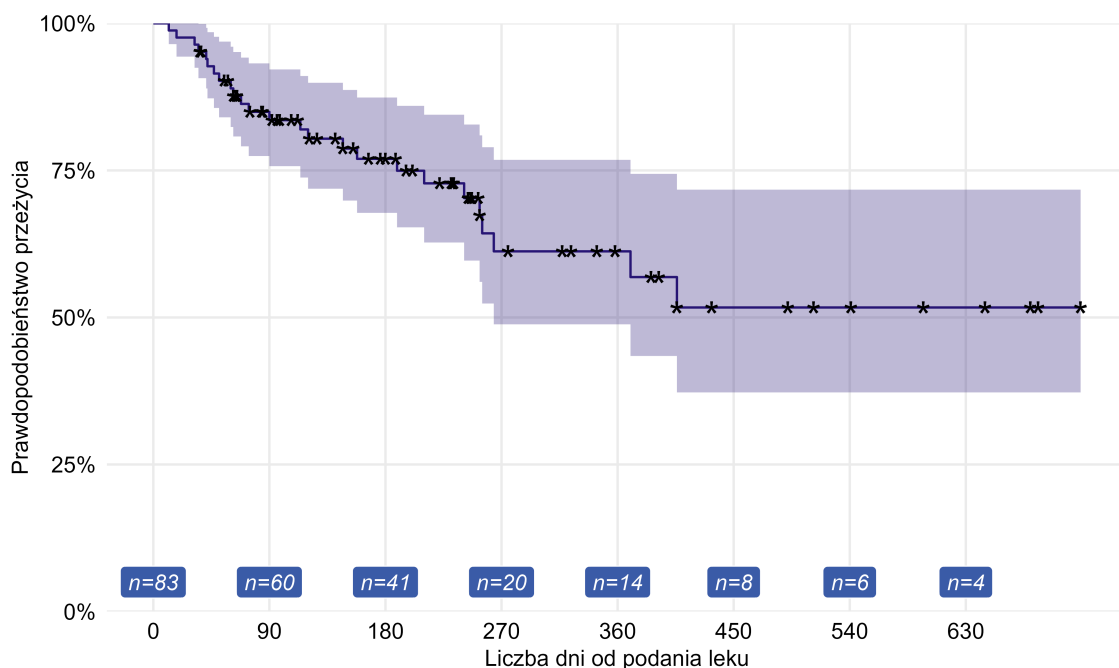


Źródło: opracowanie własne na podstawie danych NFZ

Wśród pacjentów, dla których możliwe było obserwowanie wystąpienia zgonu w okresie 60 dni po podaniu leku (tj. pacjenci, którym podano lek przed 5.05.2024 = 77 pacjentów), 8 osób (10%) zmarło w tym okre-

sie. Analogicznie dla okresu 90 dni po podaniu leku, śmiertelność wynosiła 16,9% (12/71). 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 cyloleucel w ramach programu lekowego leczenia chorych na chłoniaki B-komórkowe (maj 2022 – maj 2024). Gwiazdkami oznaczono obserwacje ocenzurowane, tj. pacjentów, dla których w danym momencie skończył się okres obserwacji. Za koniec okresu obserwacji przyjęto datę 3.07.2024 r.



Źródło: opracowanie własne na podstawie danych NFZ

Przeprowadzono również analizę powikłań terapii oraz przypadków remisji/progresji choroby u pacjentów po podaniu akcykabtagenu cyloleucelu 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 79 pacjentów (95% wyjściowej populacji). Wśród tych pacjentów:

- u (co najmniej) 50 pacjentów (63%) wystąpił CRS,
- u (co najmniej) 21 pacjentów (26,6%) na-

stąpiła remisja choroby,

- u (co najmniej) 10 pacjentów (12,7%) nastąpiła wznowa/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/wznowa choroby lub powikłania po podaniu leku. Przedstawione odsetki odnoszą się zatem do minimalnego odsetka pacjentów, u których wystąpił dany stan.