

Szanowny Pan Szymon Chrostowski

Prezes Zarządu Polskiej Koalicji Pacjentów Onkologicznych

Grupa Wsparcia Chorych na

Nowotwory Mieloproliferacyjne

Szanowny Panie Prezesie,

W odpowiedzi na Pana prośbę o opinię w sprawie leku Jakavi, po zapoznaniu się z odpowiedzią pana Igora Radziewicza – Winnickiego, podsekretarza stanu w ministerstwie zdrowia pragnę zauważyć, że zasadniczo argumenty przytaczane na poparcie negatywnej decyzji o możliwości refundacji tego leku w Polsce są natury farmakoekonomicznej, nie zaś medycznej. Pan podsekretarz stanu wspomina o zbyt wysokim koszcie uzyskania QUALY i uznaje zaproponowane przez wnioskodawcę warunki finansowe za nieodpowiednie. Niepokojące jest stwierdzenie popierające decyzję odmowną, które przywołuje informację, że w żadnym kraju o podobnym do Polski PKB lek ten nie jest refundowany, co oznacza uzależnienie możliwości skutecznego leczenia chorych na nowotwór akurat tym lekiem od chwilowego stanu Polskiej gospodarki. Przywołane w odpowiedzi podsekretarza stanu medyczne argumenty merytoryczne są całkowicie nieaktualne, gdyż oparte są najpewniej na stanie wiedzy z 2013r, kiedy to do ministerstwa wpłynął wniosek o refundację Jakavi. Aktualne wyniki badań COMFORT I i COMFORT II wskazują, że zastosowanie leku Jakavi wiąże się nie tylko z redukcją wielkości śledziony, znaczną redukcją nasilenia objawów konstytucjonalnych ( o czym wspomina w uzasadnieniu) , ale także około 50% redukcją ryzyka zgonu w porównaniu z grupą leczoną placebo (COMFORT I) lub najlepszą dotychczas stosowaną terapią (COMFORT II). W tym pierwszym przy medianie obserwacji 51 tygodni zanotowano 13 (8,4%) zgonów w grupie ruksolitynybu i 24 (15,7%) zgonów w grupie placebo , [1,2,3], w badaniu COMFORT II u chorych leczonych inhibitorem kinaz wykazano istotne statystycznie wydłużenie całkowitego przeżycia i zmniejszenie o połowę ryzyka zgonu w stosunku do grupy kontrolnej BAT (hazard ratio, 0.48; 95% CI, 0.28-0.85; log-rank test, P=0,009) [4]. Co bardzo istotne w obu badaniach randomizowanych wydłużenie całkowitego przeżycia chorych leczonych Jakavi obserwowano także u chorych z grup kontrolnych doświadczających progresji [5]. Wskazuje to na konieczność niezwłocznego wdrożenia tego leczenia u chorych na mielofibrozę z ryzykiem pośrednim 2 lub wysokim. W uzasadnieniu odmowy refundacji wspomina się o braku takiego efektu leczenia, stąd wniosek, że pismo to oparte zostało na błędnych przesłankach opartych o nieaktualne informacje. Należy podkreślić, że Jakavi jest jedynym zarejestrowanym preparatem do leczenia samoistnego włóknienia szpiku, który jest w stanie wydłużyć przeżycie chorych. Nie istnieje inne, równie skuteczne leczenie. Ze względu na starszy wiek chorych w chwili rozpoznania i często występujące u nich schorzenia współistniejące ryzykowną metodą alogenicznej transplantacji można zaproponować jedynie nielicznym spośród nich. Pragnę także zwrócić uwagę na fakt, że brak możliwości leczenia lekiem Jakavi większej grupy chorych na

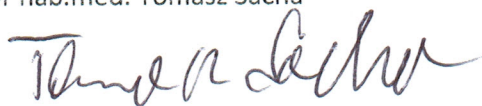
włóknienie szpiku w Polsce powoduje, że firmy farmaceutyczne produkujące innowacyjne leki przeznaczone do leczenia tego schorzenia rezygnują z badań klinicznych nad nimi w naszym kraju. Blokowany jest zatem także dostęp polskich pacjentów do innowacyjnych terapii również w ramach badań klinicznych – aktualnie jedynej możliwości skuteczniejszego niż dotąd leczenia bardzo ograniczonej liczby chorych na mielofibrozę.

Piśmiennictwo:

1. Verstovsek S, Mesa RA, Gotlib J i wsp. Double-blind, placebo-controlled trial of ruxolitinib for myelofibrosis. *N Engl J Med.* 2012;366:799-807.
2. Harrison C, Kiladjian J, Al-Ali HK i wsp. JAK inhibition with ruxolitinib versus best available therapy for myelofibrosis. *N Engl J Med.* 2012;366:787-98.
3. Verstovsek S, Mesa RA, Gotlib J i wsp. Three-year efficacy, overall survival, and safety of ruxolitinib therapy in patients with myelofibrosis from the COMFORT-I study *Haematologica* 2015; 100:479-488
4. Passamonti F, Cervantes F, Vannucchi AM i wsp. A dynamic prognostic model to predict survival in primary myelofibrosis: a study by the IWG-MRT (International Working Group for Myeloproliferative Neoplasms Research and Treatment). *Blood* 2010;115:1703-1708.
5. Cervantes F, Vannucchi AM, Kiladjian J i wsp. Three-year efficacy, safety, and survival findings from COMFORT-II, a phase 3 study comparing ruxolitinib with best available therapy for myelofibrosis. *Blood.* 2013;122:4047-405

Z poważaniem

Dr hab.med. Tomasz Sacha



Dr hab. med. TOMASZ SACHA  
Specjalista chorób wewnętrznych  
Specjalista hematolog  
2624828 980610876  
tel. 602 51 69 24