



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 180/2019 z dnia 17 czerwca 2019 roku

w sprawie substancji czynnej sunitynibum we wskazaniach pozarejestacyjnych: leczenie mięsaków tkanek miękkich (ICD-10 C48, C49): mięsak pęcherzykowaty (alveolar soft part sarcoma) w stadium miejscowego zaawansowania lub uogólnienia przy braku możliwości radykalnego leczenia chirurgicznego u pacjentów w wieku 18 lat i powyżej

*Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną sunitynibum we wskazaniach pozarejestacyjnych: leczenie mięsaków tkanek miękkich (ICD-10 C48, C49): mięsak pęcherzykowaty (alveolar soft part sarcoma) w stadium miejscowego zaawansowania lub uogólnienia przy braku możliwości radykalnego leczenia chirurgicznego u pacjentów w wieku 18 lat i powyżej.*

#### Uzasadnienie

*Wyszukiwanie w bazach literatury medycznej nie ujawniło wysokiej jakości badań ocenianej technologii (przeglądy systematyczne lub próby kliniczne z randomizacją). Niemniej odnaleziono retrospektywne badanie (Jagodzińska-Mucha 2017) obejmujące osoby dorosłe oraz retrospektywne badanie obejmujące zarówno populację dorosłych, jak i dzieci (Li 2016). Do obu badań włączano pacjentów z nieresekcyjnymi mięsakami pęcherzykowatymi tkanek miękkich. U większości pacjentów występowały przerzuty odległe. W pierwszym z wymienionych badań korzyść kliniczną z leczenia zaobserwowano u 93% pacjentów. U 6 osób (40%) wystąpiła odpowiedź częściowa, u 8 (53%) doszło do stabilizacji choroby, natomiast u jednego (7%) do progresji choroby. W podsumowaniu autorzy badania wskazali, iż uzyskane wyniki potwierdzają długotrwałą skuteczność sunitynibu jako opcji rekomendowanej do stosowania w przypadkach nieoperacyjnych i przerzutowych mięsaków pęcherzykowatych tkanek miękkich.*

*Natomiast w drugim z badań - spośród 14 włączonych pacjentów 4 uzyskało odpowiedź częściową, natomiast u 10 doszło do stabilizacji choroby. U jednego pacjenta nastąpiło wyraźne zmniejszenie guza kończyny po 19 tyg. leczenia.*



*Jeden z pacjentów uzyskał prawie całkowitą remisję przerzutów do opłucnej po 17 mies. terapii. U 2 pacjentów z początkowo nieoperacyjnym mięsakiem pęcherzykowatym możliwa była pełna resekcja guzów po zastosowanym leczeniu sunitynibem. Po operacji pacjenci kontynuowali leczenie sunitynibem i jeden z nich pozostał w badaniu prawie 3,7 lat.*

*Ponadto analizowano 4 badania obserwacyjne i 3 opisy przypadków. Te pierwsze oparte były na obserwacjach w małych populacjach pacjentów ( $\leq 9$  chorych). Eberst 2014 stosował sunitynib u 3 pacjentów, u których nie uzyskał odpowiedzi na leczenie. Orbach 2013 leczył pięcioro dzieci i młodych dorosłych do 21 r. ż. Czterech spośród nich miało chorobę uogólnioną i stosowało sunitynib w trybie compassionate use – u 2 uzyskano odpowiedź częściową, a u pozostałych stabilizację choroby. W obserwacjach Stacchiotti 2011 i Stacchiotti 2009 wyniki były niespójnie. Niemniej wyniki podane w nowszej z publikacji - Stacchiotti 2011 r. wskazały, iż spośród 9 chorych 5 uzyskało częściową odpowiedź, u 3 stwierdzono stabilizację, natomiast progresja wystąpiła u 1 chorego. Nie można wyciągnąć jednoznacznych wniosków z trzech odnalezionych opisów przypadków.*

#### **Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 784 z późn. zm.).

Wykorzystane źródła danych:

1. Opracowanie na potrzeby Rady Przejrzystości w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych leków we wskazaniach innych niż ujęte w Charakterystyce Produktu Leczniczego, raport nr: OT.4321.28.2019 oraz aneks do raportu nr: OT.434.8.2016, „Sunitynibum we wskazaniach: leczenie mięsaków tkanek miękkich (ICD-10 C48, C49): mięsak pęcherzykowaty (alveolar soft part sarcoma) w stadium miejscowego zaawansowania lub uogólnienia przy braku możliwości radykalnego leczenia chirurgicznego u pacjentów w wieku 18 lat i powyżej”, data ukończenia: 10 czerwca 2018 r.