



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

**Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 11/2018 z dnia 15 stycznia 2018 roku  
w sprawie oceny leku Xalkori (kryzotynib), w ramach  
programu lekowego „Leczenie niedrobnokomórkowego  
raka płuca (ICD-10 C34)”**

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Xalkori (kryzotynib):*

- kapsułki twarde, 200 mg, 60 tabl. w blistrze, kod EAN: 5909991004484;
  - kapsułki twarde, 250 mg, 60 tabl. w blistrze, kod EAN: 5909991004507,
- w ramach wnioskowanego programu lekowego „Leczenie niedrobnokomórkowego raka płuca (ICD-10 C34)”, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie, pod warunkiem wprowadzenia instrumentu dzielenia ryzyka zapewniającego efektywność kosztową stosowania leku w Polsce. Rada nie akceptuje zaproponowanego instrumentu dzielenia ryzyka. Zdaniem Rady zapisy programu powinny uwzględniać możliwość potwierdzenia występowania rearanżacji w genie ROS-1 za pomocą zwalidowanych nowoczesnych testów innych niż FISH (np. techniki qRT-PCR lub metody immunohistochemicznej).*

### **Uzasadnienie**

#### Problem kliniczny i terapeutyczny

*Rearanżacja w genie ROS-1 jest obecna u około 1-2% chorych na niedrobnokomórkowego raka płuca o typie gruczołowym lub mieszanym z przeważającym utkaniem gruczołowym. Jest to więc podtyp bardzo rzadki: eksperci szacują, że populacja chorych spełniających kryteria włączenia do programu objmie w Polsce około 50 chorych. W leczeniu chorych na raka płuca z rearanżacją w genie ROS-1 stosowany jest kryzotynib, lek aktualnie refundowany w ramach programu lekowego w II linii leczenia chorych na niedrobnokomórkowego raka płuca z rearanżacją w genie ALK.*

#### Dowody naukowe

*Bezpieczeństwo i skuteczność stosowania kryzotynibu w grupie chorych na raka płuca z rearanżacją w genie ROS1 oceniano w badaniach jednoramiennych (bez grupy kontrolnej) PROFILE 1001 oraz 0012-01, badanie 0012-01 dostępne jest wyłącznie w postaci abstraktu. Ponadto opublikowano prace retrospektywne*



porównujące kryzotynib z chemioterapią. Siła dowodów naukowych jest więc stosunkowo niska. Odsetek odpowiedzi (Shaw 2014) wynosił 72%, mediana czasu do progresji wyniosła 19.2 miesiąca. W obu badaniach (PROFILE 1001 oraz 0012-01) nie osiągnięto mediany OS. Porównania retrospektywne z chorymi leczonymi z wykorzystaniem chemioterapii wskazują na wyższe odsetki odpowiedzi i dłuższy czas do progresji w przypadku leczenia kryzotynibem. W odniesieniu do jakości życia ocenianej kwestionariuszem QLQ-C30 w zakresie ogólnego stanu zdrowia pacjenci odnotowali poprawę.

Tolerancja leczenia jest stosunkowo dobrze poznana, gdyż lek stosowany jest również u chorych z rearanzacją w genie ALK. Do najczęściej zgłaszanych objawów niepożądanych należą zaburzenia widzenia, nudności, obrzęki obwodowe, zaparcia, wymioty, podwyższony poziom AspAT, zmęczenie, zaburzenia smaku i zawroty głowy.

#### Problem ekonomiczny

Wiarygodną ocenę efektywności kosztowej stosowania kryzotynibu u chorych na raka płuca z rearanzacją w genie ROS1 utrudnia brak badań porównujących bezpieczeństwo i skuteczność stosowania kryzotynibu z chemioterapią. Analiza ekonomiczna przedstawiona przez wnioskodawcę wskazuje

wartości QUALY znajdują się znacząco powyżej progu opłacalności, o którym mowa w ustawie o refundacji.

Ponadto,

#### Główne argumenty decyzji

Pomimo stosunkowo niskiej siły dowodów naukowych i niezadowalającej efektywności kosztowej leczenia kryzotynibem chorych z rearanzacją w genie ROS1 przy zaproponowanym RSS Rada uważa za zasadne finansowanie leku Xalkori w omawianym wskazaniu w ramach proponowanego programu lekowego pod warunkiem

Głównym

*argumentem jest udokumentowana skuteczność takiego leczenia w grupie chorych z rearanżacją ROS1, prawdopodobnie znacząco większa niż przy zastosowaniu chemioterapii oraz poprawa jakości życia jaką odnotowali chorzy.*

*Liczebność grupy chorych z rearanżacją ROS1 jest niewielka, stąd rak płuca z rearanżacją ROS1 powinien być traktowany jako choroba rzadka.*

**Tryb wydania stanowiska**

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2016 r., poz. 1536 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr OT.4331.6.2017 „Wniosek o objęcie refundacją leku Xalkori (kryzotynib) w ramach programu lekowego: „Leczenie niedrobnokomórkowego raka płuca z zastosowaniem kryzotynibu (ICD-10 C34)”. Data ukończenia: 5 stycznia 2018 r.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Pfizer Polska Sp. z o.o.).

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem Pfizer 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 2014, poz. 782 z późn. zm.) w zw. z art. 11 ust. 4 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2003 r., Nr 153, poz. 1503 z późn. zm.).

**Organ dokonujący wyłączenia jawności:** Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji.

**Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności:** Pfizer Polska Sp. z o.o.