



Rada **Przejrzystości**

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

## Opinia Rady Przejrzystości

nr 388/2017 z dnia 28 listopada 2017 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych,  
w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych,  
leku Caprelsa (vandetanib) we wskazaniu: rak rdzeniasty tarczycy  
z mutacją RET z przerzutami do wątroby (ICD10: C73)

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Caprelsa (vandetanib) we wskazaniu: rak rdzeniasty tarczycy z mutacją RET z przerzutami do wątroby (ICD10: C73).*

### Uzasadnienie

#### Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

*Rak tarczycy z przerzutami do wątroby jest bardzo ciężką chorobą o złym rokowaniu, ale można odpowiednim leczeniem uzyskać wielomiesięczne przeżycia bez progresji. Brak jest obecnie innego niż vandetanib dostępnego leku do stosowania w leczeniu agresywnego i objawowego, nieoperacyjnego, miejscowo zaawansowanego lub przerzutowego raka rdzeniastego tarczycy, który zaliczany jest do chorób rzadkich.*

#### Skuteczność kliniczna i praktyczna

*Istnieją publikacje wskazujące na skuteczność vandetanibu we wnioskowanym wskazaniu. W badaniu RCT obejmującym grupę 231 leczonych vandetanibem oraz 100 placebo (Wells, 2012) stwierdzono istotne statystycznie wydłużenie czasu przeżycia wolnego od progresji (PFS) w grupie vandetanibu w stosunku do grupy placebo (mediana PFS 30,5 mies. vs 19,3 mies. oraz HR = 0,46 (0,31-0,69),  $p \leq 0,001$ ). Odsetek obiektywnych odpowiedzi w grupie vandetanibu był istotnie statystycznie wyższy w porównaniu do grupy placebo (45% vs 13%, 5,48 (2,99-10,79),  $p \leq 0,001$ ). Dotychczas nie wykazano znamiennego wpływu na przeżycie całkowite.*

*W badaniu retrospektywnym jednoramiennym (Chougnat 2015) PFS wyniósł 16,1 mies., natomiast odpowiedź całkowita wystąpiła u 2% pacjentów, odpowiedź częściowa u 20% pacjentów, choroba stabilna u 55% pacjentów oraz choroba postępująca u 12% pacjentów.*



W obu badaniach nieznanym jest odsetek pacjentów z mutacją RET i jednoczesnym występowaniem przerzutów do wątroby. W omawianych badaniach nie oceniano jakości życia pacjentów i przeżycia całkowitego.

#### Bezpieczeństwo stosowania

Najczęściej występujące (min. 10%) zdarzenia niepożądane, co najmniej 3 stopnia, we włączonych badaniach to: biegunka, wysypka. Według Charakterystyki Produktu Leczniczego leku Caprelsa najczęściej zgłaszane działania niepożądane leku to: biegunka, wysypka, nudności, nadciśnienie tętnicze oraz ból głowy.

#### Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Lek posiada rejestrację i jest wskazany w leczeniu agresywnego i objawowego nieoperacyjnego, miejscowo zaawansowanego lub przerzutowego raka rdzeniastego. Wyrazem przewagi korzyści nad ryzykiem jest rekomendowanie stosowania leku przez kilka towarzystw naukowych.

#### Konkurencyjność cenowa

Brak alternatywnego leczenia.

#### Wpływ na wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorców

Koszt wnioskowanej terapii w ujęciu kwartalnym lub trzech cykli leczenia przekracza jedną czwartą średniej wartości produktu krajowego brutto na jednego mieszkańca. Liczba osób, które mogą mieć wskazania do takiego leczenia jest niska.

#### Alternatywna technologia medyczna, w rozumieniu ustawy o świadczeniach, oraz jej efektywność kliniczna i bezpieczeństwo stosowania

Zdaniem ekspertów brak jest w omawianym wskazaniu dostępnych terapii o udowodnionej skuteczności finansowanych ze środków publicznych. Zespoły ekspertów towarzystw naukowych zalecają w tym wskazaniu również kabozantynib, którego wniosek refundacyjny, został negatywnie rozpatrzony przez Prezesa AOTMiT, ze względu na brak odpowiednich dowodów skuteczności.

#### Główne argumenty decyzji

Pozytywne wyniki omawianych badań oraz publikacje niższej klasy, rekomendacje towarzystw naukowych i polskich ekspertów, stosunkowo niewielka liczba potencjalnych pacjentów korzystających z leku. Zdaniem ekspertów przedłuża okres życia o wysokiej jakości.

**Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt. 4 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2017 r., poz. 1938), z uwzględnieniem opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, nr OT.422.12.2017 „Caprelsa we wskazaniu: Rak rdzeniasty tarczycy z mutacją RET i przerzutami do wątroby (ICD10: C73)”. Data ukończenia: 24 listopada 2017.