



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 45/2018 z dnia 19 marca 2018 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych,
w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych,
Sandostatin LAR (octreotide) we wskazaniu: oponiak mózgu
z ekspresją receptorów somatostatyny (ICD-10: D32.0)

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, Sandostatin LAR (octreotide), ampułkostrzykawka á 30 mg we wskazaniu: oponiak mózgu z ekspresją receptorów somatostatyny (ICD-10: D32.0).

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Oponiaki (ang. meningiomas) to jedne z najczęstszych nowotworów mózgu (stanowią około 1/3 pierwotnych guzów wewnątrzczaszkowych), które występują częściej u kobiet. Są to nowotwory charakteryzują się różną szybkością wzrostu oraz zróżnicowanym stopniem złośliwości. Około 90% z nich ma receptory somatostatyny (Wen PY i wsp. J Neurooncol 2010,99,365). W większości mają charakter łagodny i poddają się dobrze leczeniu operacyjnemu. Oponiaki złośliwe są rzadkie, ale agresywne; przerzuty narządowe występują u około połowy pacjentów (zwykle w kościach, wątrobie i płucach).

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Pojedyncze opisy przypadków sugerowały, że analogi somatostatyny mogą być skuteczne u pacjentów z nawracającym, nieoperacyjnym oponiakiem, ale badania kliniczne tego nie potwierdziły. W prospektywnym badaniu pilotażowym leczono 16 pacjentów oktreotydem - długo działającym analogiem somatostatyny (Chamberlain 2007). Częściową odpowiedź wykazano u 5 pacjentów (31 procent), a kolejnych 5 pacjentów miało stabilną chorobę. Mediana przeżycia wyniosła osiem miesięcy. Późniejsze, prospektywne badanie II fazy, wysokiej jakości u pacjentów z nawracającym oponiakiem nie wykazało istotnej skuteczności leczenia, po włączeniu tylko dziewięciu pacjentów (Simo 2014). Mediana czasu do wystąpienia progresji wyniosła odpowiednio 5 i 4,2 miesięcy.



W badaniu Chamberlain 2007 kryteria włączenia nie odnosiły się do leczenia chirurgicznego i nie wszyscy pacjenci byli poddani operacji przed terapią oktreotydem, jednak 75% chorych przeszło przynajmniej 1 operację zaś u części chorych zastosowano przed oktreotydem chemioterapię. Wystąpienie częściowej odpowiedzi na leczenie odnotowano u 5 spośród 16 pacjentów z badania Chamberlain 2007 (31,3%). W badaniu Simó 2014 odpowiedź częściowa, w ocenie radiograficznej, nie wystąpiła u żadnego z leczonych. W badaniu Schulz 2011, oceniającym skuteczność praktyczną oktreotydu u pacjentów z oponiakami zlokalizowanymi u podstawy czaszki, nie zaobserwowano regresji guza w badaniu MRI oraz nie odnotowano klinicznej poprawy podczas terapii oktreotydem.

Bezpieczeństwo stosowania

W badaniach oceniających skuteczność kliniczną oktreotydu w leczeniu oponiaków, nie odnotowano reakcji >2 stopnia toksyczności. Najczęściej występowała biegunka, która nie wymagała redukcji dawki leku. W badaniu Schulz 2011 Sandostatin LAR był dobrze tolerowany, z wyjątkiem 1 pacjenta, który miał zaburzenia psychiczne.

Wg. Charakterystyki Produktu Leczniczego, do bardzo często występujących działań niepożądanych Sandostatin LAR należą: zaburzenia żołądkowo-jelitowe (m.in. biegunka), bóle głowy, uszkodzenie wątroby, hiperglikemia, reakcje w miejscu wstrzyknięcia. W ramach specjalnych ostrzeżeń i środków ostrożności, dotyczących stosowania Sandostatin LAR, zwrócono uwagę na częste przypadki bradykardii oraz możliwość powstawania kamieni żółciowych (15 – 30% pacjentów).

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Ryzyko stosowania niewielkie, lek może być skuteczny u niektórych chorych, którzy nie mogą być leczeni operacyjnie i radioterapią oraz mają receptory dla somatostatyny.

Konkurencyjność cenowa

Podobnie działający pazyreotyd jest ██████████.

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

Przyjmując, na podstawie opinii eksperta klinicznego, iż liczba pacjentów w populacji docelowej wynosi do 10 osób rocznie, oszacowano, iż koszt dla płatnika publicznego związany z refundacją wnioskowanego produktu leczniczego w okresie 3 cykli leczenia wyniesie ██████████ zł.

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

Odnaleziono cztery rekomendacje dotyczące leczenia pacjentów z oponiakami mózgu, ale tylko jedna zaleca stosowanie farmakoterapii, w tym leczenie analogami somatostatyny, w przypadku nawracających oponiaków mózgu lub wykazujących progresję, które są odporne na leczenie chirurgiczne i radioterapię. W dwóch innych rekomendacjach, zostało podkreślone, że obecne dowody naukowe na temat stosowania farmakoterapii w leczeniu pacjentów we wnioskowanym wskazaniu są ograniczone. Polskie rekomendacje nie wymieniają farmakoterapii jako technologii możliwej do zastosowania w leczeniu oponiaka mózgu. W opinii eksperta, w leczeniu oponiaka mózgu obecnie stosuje się operację i radioterapię, które są jednocześnie najskuteczniejsze i najtańsze. Brak jest zarejestrowanych opcji farmakologicznych, więc zastosowanie oktreotydu w oponiakach byłoby traktowane jako off-label.

.....
Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości

Prof. Piotr Szymański

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 późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, nr OT.422.8.2018 „Sandostatin LAR (octreotide) we wskazaniu: oponiak mózgu z ekspresją receptorów somatostatyny (ICD10: D32.0)”. Data ukończenia: 14 marca 2018 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Novartis Poland Sp. z o.o.; Novartis Europharm Ltd.).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Novartis Poland Sp. z o.o.; Novartis Europharm Ltd. 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 2016, poz.1764 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: Novartis Poland Sp. z o.o.; Novartis Europharm Ltd.