



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 269/2018 z dnia 8 października 2018 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Zelboraf (wemurafenib) we wskazaniu: choroba Erdheima-Chester (ICD10: C96.1)

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, Zelboraf (wemurafenib), tabletki powlekane 240 mg, we wskazaniu: choroba Erdheima-Chester (ICD10: C96.1), z mutacją BRAF-V600.

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Choroba Erdheima-Chester (ECD) to postać histiocytozy nie wywodzącej się komórek Langerhansa, polegającej na niekontrolowanym nacieku limfocytów i histiocytów w szpiku kostnym i innych narządach. Jest to choroba wieloukładowa, objawiająca się zajęciem układu kostnego z bólami kostnymi, a także wytrzeszczem, moczówką prostą, uszkodzeniem nerek i ośrodkowego układu nerwowego i/lub zajęciem układu sercowo-naczyniowego. Jest to choroba bardzo rzadka, zwykle dotyczy mężczyzn między 5 i 7 dekadą życia, ale może także wystąpić u dzieci. Według powołanego eksperta, w Polsce jest 2-8 chorych na ECD. Rokowanie jest zróżnicowane, ale ogólnie gorsze u pacjentów z zajęciem ośrodkowego układu nerwowego. Przed erą interferonu alfa, średnia długość przeżycia po rozpoznaniu wynosiła 19,2 miesiący. Obecnie, śmiertelność wynosi tylko 26%, a 5-letni okres przeżycia wynosi 68%. Chorobę leczy się głównie dużymi dawkami interferonu alfa. Nowym lekiem u osób z mutacją BRAF- V600E jest wemurafenib -inhibitor kinaz, stosowany doustnie.

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Jedynie dostępne badanie Diamonda 2017 (jednoramienne, wieloośrodkowe, otwarte, nierandomizowane) wykazało, że w grupie 18 pacjentów z rozpoznaniem ECD i mutacją BRAF-V600E, po zastosowaniu inhibitora kinaz – wemurafenibu, stwierdzono poprawę u 54,5% pacjentów (częściowa odpowiedź u 50% pacjentów). Całkowita remisja u 4,5% pacjentów), poza tym



u 40% pacjentów uzyskano stabilizację choroby. Żaden z leczonych wemurafenibem nie miał progresji choroby podczas okresu obserwacji, którego mediana wynosiła 28,8 m-cy.

Nie odnaleziono badań oceniających skuteczność praktyczną wemurafenibu.

Bezpieczeństwo stosowania

Wg. Charakterystyki Produktu Leczniczego Zelboraf, do najczęstszych (>30%) działań niepożądanych o dowolnym stopniu nasilenia, związanych ze stosowaniem wemurafenibu należą: bóle stawów, zmęczenie, wysypka, nadwrażliwość na światło, łysienie, nudności, biegunka, ból głowy, świąd, wymioty, brodawczak skóry i hiperkeratoza. Najczęstszymi (≥5%) działaniami niepożądanymi o 3 stopniu nasilenia były: rak kolczystokomórkowy skóry, rogowiak kolczystokomórkowy, wysypka, ból stawów i zwiększenie aktywności gamma-glutamylotransferazy.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Relacja ta jest niemożliwa do ustalenia, gdyż nie ma wystarczających danych klinicznych. Odnaleziono 2 rekomendacje (międzynarodowy Konsensus Ekspertów 2014 oraz PTOK 2013) dotyczące stosowania wemurafenibu w ocenianym wskazaniu.

Konkurencyjność cenowa

Zelboraf jest [REDAKTOWANE] od dotychczas w Polsce stosowanych leków w ECD; dotychczas nie ma odpowiedników generycznych.

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

Koszt leku dla jednego pacjenta wynosi [REDAKTOWANE] rocznie.

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

Z analizy wytycznych klinicznych wynika, że ewentualnym komparatorem dla wemurafenibu byłoby zastosowanie imatynibu, który nie jest refundowany ze środków publicznych w przedmiotowym wskazaniu.

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 2018 r., poz. 1510, z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, nr: OT.422.40.2018 „Zelboraf (wemurafenib) we wskazaniu: choroba Erdheima-Chestera (ICD-10: C96.1)”. Data ukończenia: 2 października 2018 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Roche 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 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: Roche Polska Sp. z o.o.