



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 89/2019 z dnia 8 kwietnia 2019 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Nexavar (sorafenib) we wskazaniu: rak pęcherzykowy tarczycy (ICD-10: C73)

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Nexavar (sorafenib), tabletki á 200 mg, we wskazaniu: rak pęcherzykowy tarczycy (ICD-10: C73), pod warunkiem zastosowania ceny sorafenibu nie wyższej niż w programach lekowych.

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Rak pęcherzykowy tarczycy jest nowotworem o stosunkowo dobrym rokowaniu i u większości chorych leczonych chirurgicznie z uzupełniającym leczeniem jodem-131 uzyskuje się trwałe wyleczenie. W przypadku jednak progresji lub rozsiewu po leczeniu i oporności na leczenie jodem-131 rokowanie staje się poważne: u większości chorych progresja choroby prowadzi w konsekwencji do śmierci. Wniosek dotyczy pacjenta, u którego nieskuteczne było leczenie chirurgiczne oraz leczenie jodem-131. Tym samym wnioskowane wskazanie zawiera się we wskazaniu rejestracyjnym leku Nexavar, który jest stosowany w takiej sytuacji klinicznej.

Skuteczność kliniczna i praktyczna

W badaniu z randomizacją DECISION (Bose i wsp. 2014), porównywano skuteczność kliniczną i bezpieczeństwo stosowania sorafenibu vs. placebo w leczeniu chorych z progresywnym, miejscowo zaawansowanym lub przerzutowym, zróżnicowanym rakiem tarczycy opornym na leczenie jodem radioaktywnym. Populacja chorych w tym badaniu była więc szersza niż wnioskowane wskazanie: chorzy na raka pęcherzykowego stanowili tylko kilka procent włączonych do badania DECISION (większość stanowili chorzy na raka brodawkowego). W badaniu wykazano istotnie statystycznie dłuższy czas do progresji (PFS, ang. progression-free survival) w grupie pacjentów otrzymujących sorafenib w porównaniu do grupy placebo (10,8 mies. vs 5,8



mies.). Różnica PFS między grupą sorafenibu a grupą placebo nie była jednak istotna statystycznie w subpopulacji pacjentów z rakiem pęcherzykowym tarczycy, co można, w części, przypisać małej liczebności tej podgrupy. Wykazano istotne statystycznie różnice na niekorzyść sorafenibu w porównaniu do placebo dla jakości życia. Jednocześnie, nie wykazano zysku w zakresie przeżyć całkowitych.

Bezpieczeństwo stosowania

Stosowanie sorafenibu wiąże się z istotną klinicznie toksycznością. Najczęstszymi zdarzeniami niepożądanymi raportowanymi w badaniu DECISION były reakcja skórna ręka-stopa, biegunka, łysienie, wysypka, zmęczenie, utrata masy ciała, nadciśnienie.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Wskazanie, którego dotyczy wniosek mieści się w obrębie wskazania rejestracyjnego produktu leczniczego Nexavar. W związku z tym relacja korzyści do ryzyka stosowania leku została przeprowadzona przez EMA (ang. European Medicines Agency, Europejska Agencja Leków) i oceniono ją jako pozytywną. Należy jednak zwrócić uwagę na to, że nie udokumentowano wpływu stosowania Nexavaru na przeżycia chorych na zróżnicowanego raka tarczycy (raka pęcherzykowego), czyli taki typ, który posiada analizowany pacjent, wykazano natomiast niekorzystny wpływ na jakość życia.

Konkurencyjność cenowa

Alternatywną technologią dla sorafenibu stanowi w omawianym wskazaniu lenwatynib (aktualnie nie jest on finansowany w Polsce w omawianym wskazaniu). Koszt 3 cykli terapii lekiem Nexavar (sorafenib) wyniesie ok. 43 tys. zł wg ceny z Obwieszczenia Ministra Zdrowia bądź ok. 26,2 tys. zł wg ceny z komunikatu DGL. Z obliczeń analityków AOTMiT wynika, iż koszt 3 cykli terapii sorafenibem jest niższy od porównywalnego kosztu lenwatynibu.

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

Populacja docelowa w analizowanym wskazaniu wyniesie od 10 do 70 pacjentów rocznie. Do obliczeń przyjęto średnią z tych szacunków (35 osób). Roczny koszt terapii wyniesie ok. 11 mln zł lub 18 mln zł w zależności od przyjęcia ceny wg DGL lub Obwieszczenia Ministra Zdrowia. Oszacowania te obarczone są dużą niepewnością, gdyż brak jest danych epidemiologicznych dotyczących liczby chorych na raka pęcherzykowego tarczycy opornych na leczenie jodem radioaktywnym.

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

Lekiem stosowanym obok sorafenibu w omawianym wskazaniu jest lenwatynib. Najnowsze amerykańskie wytyczne NCCN 2018 określają lenwatynib jako terapię

preferowaną w stosunku do sorafenibu. Lenwatinib nie jest obecnie refundowany w Polsce. W przypadku chorych, u których nie można zastosować sorafenibu lub lenwatinibu, stosuje się leczenie objawowe.

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.422.26.2019 „Nexavar (sorafenib) we wskazaniu: rak pęcherzykowy tarczycy (ICD10: C73)”. Data ukończenia: 3 kwietnia 2019 r.