



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 131/2019 z dnia 13 maja 2019 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych,
w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku
Nexavar (sorafenib) we wskazaniu: rak oksyfilny (z komórek Hurthla)
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 oksyfilny (z komórek Hurthla) tarczycy (ICD-10: C73) u pacjenta, którego nieskutecznie leczono chirurgicznie oraz jodem-131.

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Rak tarczycy z komórek Hurthla (HCC) jest nowotworem złośliwym zaliczanym do raków zróżnicowanych: według niektórych klasyfikacji stanowi on podtyp raka pęcherzykowego. Jest nowotworem bardzo rzadkim: tylko 3-5% ogółu zachorowań na raka tarczycy stanowi rak z komórek Hurthla. U pacjenta, którego dotyczy wniosek, nieskuteczne było leczenie chirurgiczne oraz leczenie jodem-131. W takich przypadkach rekomendacje kliniczne zalecają stosowanie sorafenibu lub lenwantynibu, które nie są obecnie finansowane w Polsce. Niekontrolowana progresja raka z komórek Hurthla opornego na leczenie jodem prowadzi do uogólnienia choroby i w konsekwencji do śmierci.

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: subpopulacja pacjentów z rakiem tarczycy z komórek Hurthla stanowiła 17,9% pacjentów w grupie sorafenibu i 17,6% pacjentów w grupie placebo - łącznie 74 chorych (większość stanowili chorzy na raka brodawkowatego). W badaniu wykazano istotnie statystycznie dłuższy czas do progresji w grupie pacjentów otrzymujących sorafenib w porównaniu



do grupy placebo (10,8 mies. vs 5,8 mies.). Analiza podgrup nie wykazała by skuteczność sorafenibu w podgrupie chorych na raka z komórek Hurthla była mniejsza niż wśród ogółu chorych leczonych w tym badaniu.

Wykazano istotne statystycznie różnice na niekorzyść sorafenibu w porównaniu do placebo dla jakości życia. Jednocześnie, nie wykazano zysku w zakresie przeżyć całkowitych. Inne zidentyfikowane badania dotyczące omawianego zagadnienia były jednoramienne lub miały charakter obserwacyjny.

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 wnioszek mieści się w obrębie wskazania rejestracyjnego produktu leczniczego Nexavar. W związku z tym relacja korzyści do ryzyka stosowania leku została przeprowadzona przez EMA i oceniono ją jako pozytywną. Należy jednak zwrócić uwagę na to, że nie udokumentowano wpływu stosowania Nexavaru na wydłużenie przeżycia chorych na zróżnicowanego raka tarczycy, wykazano natomiast niekorzystny wpływ na jakość życia.

Konkurencyjność cenowa

Alternatywną technologię dla sorafenibu stanowi w omawianym wskazaniu lenwatynib (aktualnie nie jest on finansowany w omawianym wskazaniu). Koszt 3 cykli terapii lekiem Nexavar (sorafenib) wyniesie ok. 43 tys. wg ceny z Obwieszczenia Ministra Zdrowia oraz 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 lenwatynibem o blisko 11 tys. zł.

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

Populacja docelowa w analizowanym wskazaniu wyniesie około 10 pacjentów rocznie. Oszacowany w ten sposób koszt dla płatnika publicznego wyniesie ok. 1,7 mln zł w przypadku uwzględnienia ceny ze zlecenia Ministra Zdrowia oraz ok. 1 mln zł w przypadku uwzględnienia ceny wg komunikatu DGL.

Oszacowania te obarczone są dużą niepewnością, gdyż brak jest danych epidemiologicznych dotyczących liczby chorych na raka tarczycy z komórek Hurthla 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.422.34.2019 „Nexavar (sorafenib) we wskazaniu: rak oksyfilny (z komórek Hurthla) tarczycy (ICD10: C73)”. Data ukończenia: 6 maja 2019 r.