



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 359/2019 z dnia 4 listopada 2019 roku
w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych,
w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku
Yondelis (trabectedinum) we wskazaniu: tłuszczakomięsak śluzowaty
jajnika lewego u pacjenta pediatrycznego

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Yondelis (trabectedinum), proszek do sporządzania koncentratu roztworu do infuzji, 1 mg, 1 fiołka, we wskazaniu: tłuszczakomięsak śluzowaty jajnika lewego u pacjenta pediatrycznego.

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

We wniosku podano wiek pacjentki (16 lat) oraz wcześniej zastosowane leczenie: operacyjne I3VE, CEV, I3VA, oraz wskazano iż aktualnie występują cechy rozsiewu choroby.

Wskazania zarejestrowane przedmiotowego leku obejmują m.in.: leczenie dorosłych pacjentów z zaawansowanym mięsakiem tkanek miękkich po niepowodzeniu leczenia antracyklinami i ifosfamidem lub pacjentów niekwalifikujących się do leczenia tymi lekami. Yondelis jest finansowany w powyższym wskazaniu w ramach programu lekowego B.8 „Leczenie mięsaków tkanek miękkich (ICD-10 C48, C49)”.

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Lek skuteczny objęty programem lekowym B.8.

Bezpieczeństwo stosowania

Według ChPL Yondelis do działań niepożądanych najczęściej obserwowanych podczas leczenia tym preparatem zalicza się: zwiększenie aktywności kinazy kreatynowej we krwi, zwiększenie aktywności CK z towarzyszącą rabdomiolizą, zwiększenie stężenia kreatyniny we krwi, zmniejszenie stężenia albuminy we krwi, neutropenię, trombocytopenię, niedokrwistość, leukopenię, ból głowy, wymioty, nudności, zaparcia, jadłowstręt, zmęczenie, astenię, hiperbilirubinemię, zwiększenie aktywności aminotransferazy alaninowej oraz



aminotransferazy asparaginianowej i zwiększenie fosfatazy zasadowej we krwi oraz zwiększenie aktywności gamma glutamylotransferazy.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Wskazanie, którego dotyczy wnioski nie zawiera się we wskazaniu rejestracyjnym produktu leczniczego Yondelis. Tym samym dla niniejszego wskazania EMA nie przeprowadziła oceny relacji korzyści do ryzyka.

Zgodnie z opinią Konsultanta Wojewódzkiego w dziedzinie onkologii i hematologii dziecięcej: „U chorych z rozpoznaniem tłuszczakomięsaka śluzowatego jajnika z udokumentowaną progresją choroby trabektedyna może doprowadzić do ponownej remisji choroby i pełnego wyleczenia”.

Konkurencyjność cenowa

Brak leków generycznych.

Efektywność kliniczna komparatora (eribuliny) na podstawie ChPL u dzieci jest nieokreślona

Należy zwrócić uwagę, iż zgodnie z ChPL Halaven: „Nie określono dotychczas bezpieczeństwa stosowania ani skuteczności produktu leczniczego HALAVEN u dzieci w wieku od urodzenia do 18 lat z mięsakiem tkanek miękkich. Dane nie są dostępne”.

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

Przyjęto, że liczebność populacji docelowej będzie wynosić 2 pacjentów rocznie.

Zgodnie z przyjętymi założeniami, koszt 3-miesięcznej terapii trabektedyną wyniesie:

- █████ tys. PLN - wartość netto na podstawie Zlecenia MZ;
- 89,21 tys. PLN – na podstawie Komunikatu DGL;
- 120,77 tys. PLN - na podstawie CHB z Obwieszczenia MZ.

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

Według wytycznych amerykański (NCI 2019, NCCN 2018) europejski (NICE, ESMO 2018) i polskich (PTOK 2017) w leczeniu tłuszczakomięsaków i mięśniakomięsaków gładkokomórkowych w ramach terapii II rzutu rekomendowane są trabektedyna i eribulina. W związku z powyższym we wnioskowanym wskazaniu za komparator można uznać eribuline.

Główne argumenty decyzji

Mając na uwadze indywidualny przypadek, gdzie wykorzystano wszystkie elementy dostępnych terapii, prawie dorosły wiek pacjenta, wydłużony całkowity czas przeżycia, uwzględnienie terapii w najnowszych wytycznych

leczenia mięsaków, Rada uznaje jak na wstępie.

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 2019 r., poz. 1373 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, nr: OT.422.94.2019 „Yondelis (trabectedinum) we wskazaniu: tłuszczakomięsak śluzowaty jajnika lewego u pacjenta pediatrycznego w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych”. Data ukończenia: 31 października 2019 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone kolorem czarnym stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców Pharma Mar, S.A.

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Pharma Mar, S.A. 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 r., 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 2018 r., poz. 419).

Organ dokonujący wyłączenia jawności: Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji.

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Pharma Mar, S.A.