



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 21/2020 z dnia 27 stycznia roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Keytruda (pembrolizumab) we wskazaniu: wielogniskowy mięsak naczyniowy kości (ICD-10: C41)

*Rada Przejrzystości uważa za niezasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Keytruda (pembrolizumab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, fiolka á 25 mg/ml, 4ml, we wskazaniu: wielogniskowy mięsak naczyniowy kości (ICD-10: C41).*

#### Uzasadnienie

##### Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

*Wnioskowana terapia dotyczy leczenia pacjenta z wielogniskowym mięsakiem naczyniowym kości (ICD-10: C41), u którego dotychczasowe leczenie polegało na podaniu paklitakselu. Obecnie chory przyjmuje denosumab w celu zapobiegania zdarzeniom kostnym.*

*Zgodnie z bardziej szczegółowymi informacjami otrzymanymi od lekarza prowadzącego, terapia wnioskowana jest dla 36-letniej pacjentki, która z powodu rozpoznania wskazanego powyżej miała zastosowaną chemioterapię metronoliczną paklitakselem (7 podań do końca września 2019) wstrzymaną z powodu progresji choroby stwierdzonej w obrazowaniu radiologicznym pod koniec listopada 2019 roku. Pacjentka, do ok. połowy grudnia 2019 roku, przeszła również radioterapię paliatywną kości kręgowych piersiowych, lędźwiowych i krzyżowych kręgosłupa, a także obu stawów biodrowych. Ze względu na utrzymującą się małopłytkowość rzędu około 50 tys./mm<sup>3</sup>, lekarz wskazał na brak możliwości wdrożenia u chorej skutecznej i bezpiecznej technologii stosowanej w Polsce w rozpatrywanym wskazaniu, poza podawaniem denosumabu w celu zapobiegania zdarzeniom kostnym.*

*Oceniany produkt leczniczy nie jest zarejestrowany w rozpatrywanym wskazaniu. Nie był również dotychczas w tym wskazaniu poddawany analizie przez Agencję.*



### Skuteczność kliniczna i praktyczna

W toku przeprowadzonego przez Agencję przeglądu systematycznego nie wyszukano żadnych doniesień spełniających kryteria włączenia w odniesieniu do leczenia pembrolizumabem (PEM) naczyniakomięsaków kości.

### Bezpieczeństwo stosowania

Stosowanie pembrolizumabu wiąże się najczęściej z występowaniem działań niepożądanych pochodzenia immunologicznego. Większość z nich, w tym reakcje o nasileniu ciężkim, ustępowała po zastosowaniu odpowiedniej terapii lub odstawieniu pembrolizumabu.

### Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Wskazanie, którego dotyczy wniosek, nie zawiera się w Charakterystyce Produktu Leczniczego Keytruda. Tym samym dla niniejszego wskazania EMA nie przeprowadziła oceny relacji korzyści do ryzyka.

Ankietowani przez Agencję eksperci w większości (2/3) wypowiedzieli się negatywnie o relacji korzyści do ryzyka stosowania ocenianej technologii.

### Konkurencyjność cenowa

Zgodnie ze złożonym wnioskiem koszt 3 miesięcy terapii lekiem Keytruda wyniesie [REDACTED] brutto.

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

Na podstawie opinii ankietowanych przez Agencję ekspertów, populację docelową można określić na od 1 do 5 pacjentów rocznie. W związku z tym wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych wynosić mogą od [REDACTED] do [REDACTED] brutto rocznie, odpowiednio dla od jednego i do pięciu pacjentów stosujących 3-miesięczną terapię pembrolizumabem.

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

W ramach przeglądu wytycznych praktyki klinicznej w leczeniu mięsaków kości nie wyszukano żadnych wytycznych odnoszących się do leczenia naczyniakomięsaków kości – przeszukano strony internetowe PTOK, ASCO, ESMO oraz NCCN. Jedynie w wytycznych polskich – PTOK 2019 – odnaleziono dokument o leczeniu mięsaków kości, gdzie naczyniakomięsak był wymieniany jako jedno z rzadszych rozpoznań, jednak bez opisu sposobu jego leczenia (PTOK 2019).

### Uwagi Rady

Wniosek off-label, przy braku ewidentnych dowodów naukowych. Brak danych

*czy było leczenie chirurgiczne, które uznawane jest za najlepszą metodę leczniczą.*

**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.), opracowania Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w sprawie zasadności finansowania ze środków nr OT.422.1.2020 „Keytruda (pembrolizumab) we wskazaniu wielogniskowy mięsak naczyniowy kości (ICD-10: C41)”, data ukończenia: 22 stycznia 2020 r.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

*Dane zakreślone kolorem czarnym stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców Merck Sharp & Dohme B.V.*

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem Merck Sharp & Dohme B.V. 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:** Merck Sharp & Dohme B.V.