



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 49/2020 z dnia 2 marca 2020 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych,
w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku
Alecensa (alektynib) we wskazaniu: mięsak nieresekcyjny
(ICD-10: C49.8)

Rada Przejrzystości uważa za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Alecensa (alektynib), kapsułki twarde 150 mg, we wskazaniu: mięsak nieresekcyjny (ICD-10: C49.8), pod warunkiem stosowania wyłącznie u pacjentów w dobrym stanie ogólnym (0-1 w skali WHO), ze stwierdzoną rearanżacją w genie ALK.

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Mięsaki to nowotwory tkanki łącznej i tkanek miękkich (skrót MTM). Słowo „mięsak” jest ogólnym określeniem nowotworów złośliwych wywodzących się z tkanki innej niż nabłonkowa. Wynika z tego bardzo duża różnorodność tej grupy. Mięsaki mogą rozwinąć się z tkanek różnego typu, np. tkanki kostnej, z tkanek miękkich, np. tłuszczowej, mięśniowej, nerwowej, lub z utkania naczyń krwionośnych i limfatycznych.

Mięsaki stanowią niejednorodną grupę, składająca się z ponad 50 różnych podtypów, związanych z wyjściowym pochodzeniem tkankowym. Najczęściej rozpoznawanym typem jest mięsak pleomorficzny, czyli wielopostaciowy, a następnie tłuszczakomięsaki (liposarcoma).

We wnioskowanym przypadku, problem dotyczy chorego, u którego występuje rearanżacja w genie ALK. Dotychczas, w leczeniu zastosowano laparotomię, z odcinkową resekcją jelita cienkiego z guzem. Po dwóch miesiącach w okolicy operowanej stwierdzono masę patologiczną 64x36x46 mm oraz liczne wszczepy otrzewnowe. Dotychczasowa terapia oparta była na doksorubicynie (ADIC) lecz stwierdzono progresję choroby.

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Na podstawie odnalezionych wytycznych można wskazać, iż w leczeniu nieresekcyjnego mięsaka z rearanżacją genu ALK, po niepowodzeniu I linii chemioterapii, zalecany jest kryzotynib (PTOK 2017, NCCN 2020, ESMO-



EURACAN 2018) oraz cerytynib (NCCN 2020). Zalecenie to dotyczy zapalnych guzów miofibroblastycznych.

W wyszukanych rekomendacjach nie odniesiono się do terapii alektynibem.

Wskazane przez eksperta klinicznego prace naukowe dotyczą terapii kryzotynibem lub cerytynibem.

Bezpieczeństwo stosowania

Najczęściej występującymi działaniami niepożądanymi ($\geq 20\%$), w jednym randomizowanym badaniu klinicznym III fazy (BO28984) oraz w dwóch jednoramiennych badaniach klinicznych II fazy (NP28761, NP28673), były: zaparcia (35%), obrzęki (30%), w tym obrzęk obwodowy, uogólniony, powiek, okołoooczodołowy, twarzy i umiejscowiony) oraz ból mięśni (28%), w tym ból mięśni i mięśniowo szkieletowy).

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

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

Wg eksperta klinicznego, ankietowanego przez Agencję, „Relacja korzyści do ryzyka jest akceptowalna”.

Konkurencyjność cenowa

Cena podobna do alternatywnego kryzotynibu.

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

Eksperti kliniczni, ankietowani przez Agencję wskazali, że roczna liczba pacjentów, u których można zastosować wnioskowaną technologię lekową w ramach RDTL wyniesie: 3-5 chorych.

Na podstawie przyjętych założeń, koszt finansowania ze środków publicznych ocenianej technologii lekowej, w ramach RDTL, u 5 pacjentów przez 84 dni, wyniesie: [REDACTED] i jest taki sam jak terapia alternatywnym kryzotynibem.

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

Zgodnie z art. 47d ust 1 ustawy o świadczeniach, ocenianą technologię lekową można zastosować, jeżeli u danego pacjenta zostały wyczerpane wszystkie, możliwe do zastosowania w danym wskazaniu, dostępne technologie medyczne, finansowane ze środków publicznych. Biorąc pod uwagę ww. zapis i odnalezione wytyczne kliniczne, można stwierdzić, że technologią alternatywną, rozumianą jako aktywne leczenie, mógłby być kryzotynib.

Kryzotynib jest wskazywany we wszystkich odnalezionych wytycznych klinicznych (PTOK 2017, NCCN 2020, ESMO-EURACAN) jako lek stosowany w leczeniu

zapalnych guzów miofibroblastycznych (inflammatory myofibroblastic tumours, IMF) z obecnością rearanżacji genu ALK. IMF jest jedyną jednostką chorobową, wskazaną w wytycznych dot. leczenia mięsaków tkanek miękkich z rearanżacją w genie ALK.

Podobnie jak alektynib, kryzotynib nie jest zarejestrowany w leczeniu mięsaków nieresekcyjnych. Nie odnaleziono badań bezpośrednio porównujących alektynib i kryzotynib w leczeniu mięsaka nieresekcyjnego, ale w opisie przypadków, alektynib dawał dłuższy PFS.

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 w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych nr: OT.422.16.2020 „Alecensa, (alektynib) we wskazaniu: mięsak nieresekcyjny (ICD-10: C49.8)”. Data ukończenia: 26 lutego 2020 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone kolorem czarnym stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców Roche Registration GmbH.

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Roche Registration GmbH 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: Roche Registration GmbH.