



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 186/2020 z dnia 27 lipca 2020 roku
w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych,
w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku
Cabometyx (kabozantynib) we wskazaniu: zaawansowany rak
brodawkowaty nerki z przerzutami (ICD-10: C64.9)

Rada Przejrzystości uważa za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Cabometyx (kabozantynib), tabletki á 60 mg we wskazaniu: zaawansowany rak brodawkowaty nerki z przerzutami (ICD-10: C64.9).

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Zdaniem Konsultanta Wojewódzkiego opiniującego wniosek: „Przystany do zaopiniowania wniosek dotyczy 35-letniego chorego z progresją raka brodawkowatego (niejasnokomórkowego) nerki z przerzutami w węzłach chłonnych, wątrobie, nerkach, nadnerczach, trzustce i kościach, po trzech miesiącach leczenia temsyrolimusem w ramach dostępnego programu lekowego (od lutego do maja 2020). Rzadki typ nowotworu jest powodem braku danych na temat optymalnego postępowania terapeutycznego. Dysponujemy wiedzą opartą o analizy podgrup w dużych badaniach z randomizacją bądź badania na niewielkich liczebnie grupach chorych z różnymi rozpoznaniem niejasnokomórkowych nowotworów nerek. Chory jest młody. Pomimo znacznego zaawansowania i progresji w wielu narządach miękkich jego stan ogólny jest stabilny od grudnia 2019. Wobec wyczerpania dostępnych metod leczenia, braku standardów oraz danych wskazujących na skuteczność immunoterapii w rakach niejasnokomórkowych, niezależnie od linii leczenia zasadne jest podjęcie próby takiej terapii.”

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Nie zidentyfikowano badań dotyczących skuteczności klinicznej. Dla oceny skuteczności praktycznej przeanalizowano 3 badania retrospektywne: Campbell 2018, Chanza 2019 i Prisciandaro 2019.



W badaniach Campbell 2018, Chanza 2019 i Prisciandaro 2019 mediana przeżycia wolnego od progresji choroby wynosiła od 7 do 8 miesięcy. Mediana przeżycia całkowitego w dwóch pierwszych badaniach wyniosła od 12 do 24 miesięcy, natomiast w badaniu Prisciandaro 2019 mediana przeżycia całkowitego nie została osiągnięta; roczne przeżycie całkowite wyniosło około 60%.

Bezpieczeństwo stosowania

Najczęstszymi zdarzeniami niepożądanymi były: zmęczenie, biegunka, reakcje skórne dłoniowo-podeszwowe, nadciśnienie, spadek masy ciała/anoreksja, nudności, zapalenie błon śluzowych, zakrzepica żył głębokich/zatorowość płucna, zwiększenie poziomu aminotransferaz, niedoczynność tarczycy oraz białkomocz nerczycowy.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Wskazanie, którego dotyczy wniosek nie zawiera się we wskazaniu rejestracyjnym produktu leczniczego Cabometyx. Dla niniejszego wskazania EMA nie przeprowadziła oceny relacji korzyści do ryzyka.

Konkurencyjność cenowa

W ocenianym wskazaniu brak jest aktywnej technologii alternatywnej dla ocenianej technologii lekowej, w związku z czym odstąpiono od przedstawienia jej kosztu.

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

Według wniosku załączonego do zlecenia MZ koszt 3-miesięcznej terapii 1 pacjenta wynosi: ██████████ zł brutto i jest ██████████ niż wyliczony na podstawie obwieszczenia MZ (95 800,32 zł brutto).

Ze względu na brak danych nie jest możliwe oszacowanie liczby pacjentów, u których można zastosować wnioskowaną technologię lekową w ramach RDTL.

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

Biorąc pod uwagę odnalezione wytyczne kliniczne oraz dotychczasowe leczenie pacjenta (temsyrolimus) można stwierdzić, że dla ocenianej technologii lekowej nie ma technologii alternatywnej, rozumianej jako aktywne leczenie.

Według Rekomendacji PTU leczenie chorych z zaawansowanym / przerzutowym rakiem nerki ma charakter multidyscyplinarny i wielokierunkowy. Istotnym elementem leczenia tych chorych jest immunoterapia wykorzystująca m.in. ipilimumab, niwolumab, interferon alfa, bewacyzumab oraz interleukinę 2. Ważną rolę odgrywają również terapie celowane z inhibitorami kinazy

tyrozynowej (sorafenib, sunitynib, pazopanib, aksytynib, kabozantynib, lenwatynib, tiwozanib) oraz inhibitory mTOR (temsirolimus, ewerolimus).

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 nr: OT.422.77.2020 „Cabometyx (kabozantynib) we wskazaniu: zaawansowany rak brodawkowaty nerki z przerzutami (ICD-10: C64.9)”, data ukończenia: 22.07.2020 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone kolorem czarnym stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców (Ipsen Pharma)

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Ipsen Pharma 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: Ipsen Pharma.