



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 204/2020 z dnia 31 sierpnia 2020 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Vitrakvi (larotrektylib) we wskazaniu: rak brodawkowaty tarczycy (ICD-10: C73) u pacjenta pediatrycznego

Rada Przejrzystości uważa za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Vitrakvi (larotrektylib), roztwór doustny 20 mg/ml we wskazaniu: rak brodawkowaty tarczycy (ICD-10: C73) u pacjenta pediatrycznego, pod warunkiem obecności genu fuzyjnego NTRK, jak u wnioskowanego pacjenta.

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Eksperti kliniczni wskazali, że skutkami następstw ocenianego wskazania są: przedwczesny zgon, niezdolność do samodzielnej egzystencji oraz obniżenie jakości życia. Nieopanowana choroba prowadzi do śmierci.

Skuteczność kliniczna i praktyczna

EMA w swoim raporcie oceniającym potwierdziła skuteczność larotrektylibu we wskazaniu rejestracyjnym (tj. u pacjentów z guzami litymi, w tym z rakiem tarczycy, wykazującymi fuzję genu NTRK). Wskazano, iż relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania larotrektylibu jest pozytywna dla zarejestrowanych wskazań (oceniane wskazanie zawiera się we wskazaniu zarejestrowanym). Skuteczność i bezpieczeństwo larotrektylibu w leczeniu raka guzów litych z przerzutami potwierdzono w badaniach klinicznych wysokiej jakości. W związku z brakiem wyników dla subpopulacji pediatrycznej z rakiem tarczycy, wyniki badań przedstawiono dla populacji ogólnej (dorośli i dzieci), dla której dostępne były nieliczne wyniki dla raka tarczycy oraz dla populacji pediatrycznej, dla której dostępne były wyniki dla chorych z nowotworami litymi ogółem. Zgodnie z raportem EMA z 2019 r. w podgrupie pediatrycznej z nowotworami litymi z obecnością genu fuzyjnego NTRK, odpowiedź na leczenie uzyskało 81% pacjentów. W analizie Hong 2020 odpowiedź na leczenie uzyskało 79% pacjentów z rakiem tarczycy z genem fuzyjnym NTRK. Zgodnie z raportem



EMA z 2019 r. w populacji ogólnej z rakiem tarczycy z obecnością genu fuzyjnego NTRK odpowiedź na leczenie uzyskało 70% pacjentów

Zgodnie z opinią ekspertów, larotrektylib w badaniach klinicznych wykazywał wysoką skuteczność i bardzo dobry profil bezpieczeństwa.

Bezpieczeństwo stosowania

W publikacji Hong 2020 najczęściej raportowano zdarzenia niepożądane 1-2. stopnia. Wskazano, że rodzaj i częstotliwość występowania zdarzeń niepożądanych u dorosłych i dzieci były podobne. U 39% pacjentów dorosłych oraz u 7% pacjentów pediatrycznych raportowano zdarzenia niepożądane 3. lub 4. stopnia. Związane z leczeniem zdarzenia niepożądane raportowano u 13% pacjentów dorosłych oraz u <1% pacjentów pediatrycznych. Zgodnie z ChPL Vitrakvi „Efekt może być ilościowo różny w zależności od rodzaju guza, jak również towarzyszących zmian genetycznych (...). Dlatego Vitrakvi należy stosować tylko, jeśli nie ma zadowalających opcji leczenia, dla których ustalono korzyści kliniczne lub gdy takie możliwości leczenia zostały wyczerpane (tj. brak zadowalających możliwości leczenia).”

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Produkt leczniczy Vitrakvi został zarejestrowany zgodnie z wymaganiami europejskiego prawa farmaceutycznego, co oznacza, że relacja korzyści do ryzyka ocenianej terapii jest pozytywna.

Konkurencyjność cenowa

Według wniosku załączonego do zlecenia MZ koszt 3 miesięcznej terapii wynosi: XXXXXXXXXX PLN brutto.

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

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 art. 47d ust 1 ustawy o świadczeniach, w którym wskazano, że 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 oraz odnaleziono wytyczne kliniczne, uznano, że nie ma technologii alternatywnej dla ocenianej technologii lekowej, rozumianej jako aktywne leczenie.

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 2020 r., poz. 1398), z uwzględnieniem opracowania nr:

OT.422.89.2020 „Vitrakvi (larotrektytib) we wskazaniu: rak brodawkowaty tarczycy (ICD-10: C73) u pacjenta pediatrycznego; data ukończenia: 26.08.2020 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców (Bayer AG).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Bayer AG 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: Bayer AG.