



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 225/2020 z dnia 14 września 2020 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Nexavar (sorafenib) we wskazaniu: rak wątrobowokomórkowy (ICD-10: C22)

Rada Przejrzystości uważa za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Nexavar (sorafenib), tabletki powlekane á 200 mg, we wskazaniu: rak wątrobowokomórkowy (ICD-10: C22), z przerzutami do nadnerczy u chorych znajdujących się w skali wydolności ECOG=0 oraz w skali Child-Pugh–A oraz u których obserwuje się pozytywną odpowiedź na zastosowaną terapię.

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Rak wątrobowokomórkowy jest najczęściej występującym (ok. 90%) pierwotnym nowotworem złośliwym wątroby. W ostatnich latach w krajach rozwiniętych, szczególnie w Europie i USA, obserwuje się znaczny wzrost zachorowań na raka wątroby.

Niniejsza ocena dotyczy zastosowania sorafenibu u pacjenta po dwóch embolizacjach guzów wątroby, z przerzutami do nadnerczy leczonymi radioterapią (częściowo skuteczną) i poddawanego aktualnie terapii sorafenibem (koszty pacjent pokrywa ze środków własnych), u którego zaobserwowano odpowiedź na leczenie (zmniejszenie zmian w wątrobie o >50%). Ze względu na pozawątrobowe zmiany meta, pacjent nie spełnia kryteriów włączenia do programu lekowego NFZ.

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Głównym ograniczeniem analizy jest brak dowodów naukowych wysokiej jakości odpowiadających populacji docelowej, tj. w populacji chorych z HCC i przerzutami do nadnerczy - dla tej wąskiej populacji znaleziono jedynie publikacje stanowiące opisy przypadków (Simao 2016, Brochard 2014), które wskazują, że pacjenci odpowiadali na leczenie sorafenibem, uzyskując nawet niekiedy całkowitą remisję.



We wszystkich odnalezionych wytycznych, polskich i europejskich, w ramach leczenia systemowego HCC w I linii wymieniany jest sorafenib (SH PTG 2016, PTOK 2015, ESMO 2020, EASL 2018), choć nie specyfikują one postępowania w sytuacji przerzutów odległych.

Ankietowany ekspert opowiedział się za zasadnością stosowania sorafenibu w populacji docelowej podkreślając, że chory odnosi korzyść ze stosowanej terapii i znajduje się w skali wydolności ECOG=0 oraz w skali Childa-Pugha–A.

W AOTMiT w 2012 roku negatywnie zaopiniowano wniosek o rozszerzenie programu lekowego B.5 „Leczenie raka wątrobowokomórkowego” o populację pacjentów z rozsiewem pozawątrobowym, jednak wspomniano w tej opinii rozsiew do węzłów chłonnych lub płuc. W 2020 r. negatywną opinię otrzymał również wniosek o refundację w ramach RDTL leczenia Nexavarem raka wątrobowokomórkowego z przerzutami do kości.

Bezpieczeństwo stosowania

W odniesieniu do bezpieczeństwa stosowania sorafenibu wskazano, że terapia była dobrze tolerowana, natomiast w niektórych przypadkach (Brochard 2014) w ramach zdarzeń niepożądanych raportowano biegunkę, która ostatecznie doprowadziła do decyzji o przerwaniu tej terapii. W badaniu REFLECT (Kudo 2018), raportowano 4 zgony związane z leczeniem sorafenibem. Nie raportowano istotnych statystycznie różnic pomiędzy sorafenibem a lenwatynibem w zakresie zgonów związanych z leczeniem oraz zdarzeń niepożądanych ogółem związanych z leczeniem.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Rozpatrywane wskazanie zawiera się we wskazaniu rejestracyjnym leku Nexavar. W ocenie EMA, relacja korzyści do ryzyka stosowania sorafenibu w przypadku pacjentów z rakiem wątrobowokomórkowym jest pozytywna. Zwrócono jednak uwagę w raporcie EMA na ryzyko mniejszej skuteczności sorafenibu w przypadku chorych z przerzutami w momencie włączenia do badania.

Konkurencyjność cenowa

Koszt 3-miesięcznej terapii produktem leczniczym Nexavar w porównaniu do komparatora (lenwatynibu) jest prawie [REDACTED].

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

Nie jest możliwe oszacowanie liczby pacjentów, u których można zastosować wnioskowaną technologię lekową w ramach RDTL, co uniemożliwia precyzyjne oszacowanie wpływu na wydatki płatnika publicznego.

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, odnalezione wytyczne kliniczne, przytoczone opinie ekspertów klinicznych oraz status rejestracyjny analizowanych substancji czynnych uznano, że technologię alternatywną stanowi lenwatinib.

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), opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych nr: OT.422.100.2020 „Nexavar (sorafenib) we wskazaniu: rak wątrobowokomórkowy (ICD-10: C22)”.
Data ukończenia: 9 września 2020 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone kolorem czarnym stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców Bayer AG, Eisai GmbH

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Bayer AG, Eisai 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: Bayer AG, Eisai GmbH