



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 227/2020 z dnia 14 września 2020 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych,  
w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku  
Abraxane (nab-paklitaksel) we wskazaniu: gruczolakorak przewodowy  
trzustki (ICD-10: C25)

*Rada Przejrzystości uważa za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Abraxane (nab-paklitaksel), fiołka 100 mg, we wskazaniu: gruczolakorak przewodowy trzustki (ICD-10: C25), pod warunkiem stanu funkcjonalnego ECOG 0-2.*

#### Uzasadnienie

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

*Gruczolakorak trzustki (łac. pancreatic adenocarcinoma) jest nowotworem wywodzącym się z części zewnątrzwydzielniczej trzustki. Cechuje się wysoką złośliwością, szybkim wzrostem miejscowym i rozprzestrzenianiem do węzłów chłonnych i wątroby. W chwili rozpoznania u 80-90% chorych proces nowotworowy jest zaawansowany, a rak – niemożliwy do doszczętnego wycięcia. Gruczolakoraki trzustki stanowią 95% nowotworów złośliwych rozwijających się w trzustce. Zapadalność na raka trzustki wyniosła w Polsce w 2012 roku 6,2/100 000 u mężczyzn i 4,2/100 000 u kobiet. Rokowanie jest złe - odsetek 5-letnich przeżyć wynosi około 5%, a wskaźnik umieralności ma zbliżoną wartość do wskaźnika zachorowalności.*

*Zlecenie dotyczy pacjenta z rozpoznaniem gruczolakorak przewodowy trzustki w stadium G2, pT2pN2cM0, po operacja Whipple'a w 06.2018, z przerzutami do wątroby, leczonego schematem FOLFIRINOX 1– 30 cykli –PR po 6 i 12 cyklu, CR po 18, 24 i 28 cyklu, progresja 02.2020, od 03.2020 do 05.2020 – FOLFIRINOX, 05.2020 –PD; w trakcie chemioterapii FOLFIRINOX zredukowano dawkę IRI o 25% ze względu na biegunki CTC3, obecnie w trakcie paliatywnej chemioterapii gemcytabiną w monoterapii od 28.05.2020 – podawanie gemcytabiny w 1, 8 i 15 dniu 28-dniowego cyklu.*

*Lek Abraxane ma być docelowo stosowany w skojarzeniu z gemcytabiną.*



### Skuteczność kliniczna i praktyczna

Odnaleziono 2 badania:

1. *Wieloośrodkowe, otwarte (open-label) badanie prospektywne II fazy, oceniające skuteczność terapii skojarzonej gemcytabiną z nab-paklitakselem (GnP) w II linii leczenia (po niepowodzeniu leczenia schematem FOLFIRINOX) wśród pacjentów z zaawansowanym rakiem trzustki (Mita 2019). Mediana OS wyniosła 7,6 miesiąca (95% CI: 5,7–8,6), a mediana PFS wyniosła 3,8 miesiąca (95% CI: 3,3 – 4,8). Od początku leczenia schematem FOLFIRINOX w I linii do zakończenia leczenia w II linii mediana OS wyniosła 14,2 miesiąca (95% CI: 10,6 – 15,1), a mediana PFS wyniosła 9,3 miesiąca (95% CI: 7,5 – 12,4). PR raportowano u 13,3% pacjentów, DCR wyniósł 46,7% (95% CI: 30,2–63,9), z kolei RR wyniósł 13,3% (95% CI: 5,3–29,7).*
2. *Obserwacyjne, prospektywne, kohortowe, wieloośrodkowe (12 ośrodków we Francji), typu real-world, polegające na stosowaniu w II linii leczenia skojarzonego GnP u pacjentów z przerzutowym rakiem trzustki po niepowodzeniu leczeniem w I linii schematem FOLFIRINOX (Portal 2015). Od rozpoczęcia leczenia GnP mediana OS wyniosła 8,8 miesiąca (95% CI: 6,2–9,7). Wskaźniki OS po 6 i 12 miesiącach wynosiły odpowiednio 69% (95% CI: 0,53–0,80) i 15% (95% CI: 0,03–0,36). Mediana PFS wyniosła 5,1 miesiąca (95% CI: 3,2–6,2). Wskaźniki PFS po 6 i 12 miesiącach wynosiły odpowiednio 39% (95% CI: 0,25–0,52) i 6% (95% CI: 0,01–0,23).*

Wytyczne kliniczne PTOK 2014 i ESMO 2015 wskazują na konieczność rozważenia przy decyzji o zastosowaniu II linii leczenia w raku trzustki ewentualnych korzyści oraz ryzyka dla pacjenta, ponieważ nie ma dowodów, że takie postępowanie przedłuży życie pacjenta.

### Bezpieczeństwo stosowania

Działań niepożądanych na poziomie  $\geq 3$  doświadczyło 70% (Mita 2019) i 37,5% (Portal 2015) pacjentów. Najczęstszymi AE były neutropenia, niedokrwistość oraz obwodowa neuropatia czuciowa.

### Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Lek Abraxane jest zarejestrowany w skojarzeniu z gemcytabiną w leczeniu pierwszego rzutu przerzutowego gruczolaka trzustki u dorosłych. W związku z powyższym, wnioskowane wskazanie w II linii leczenia gruczolaka trzustki jest wskazaniem off-label.

### Konkurencyjność cenowa

Koszt trzech miesięcy terapii lekiem Abraxane dla jednego pacjenta to około

██████████.

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

*Brak danych o ewentualnej liczbie pacjentów kwalifikujących się do zastosowania wnioskowanego leczenia.*

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

*Na podstawie dostępnych informacji można stwierdzić, że brak jest obecnie alternatywnych opcji leczenia.*

**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.422.101.2020 „Abraxane (nab-paklitaxel) we wskazaniu: gruczolakorak przewodowy trzustki (ICD-10: C25). Data ukończenia: 9 września 2020 r.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców Celgene Europe B.V.

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem Celgene Europe 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:** Celgene Europe B.V.