



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 256/2020 z dnia 5 października 2020 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Stivarga (regorafenib) we wskazaniu: GIST jelita cienkiego (jelito czcze) (ICD-10 C17)

Rada Przejrzystości uważa za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Stivarga (regorafenib), tabletki powlekane à 40 mg, we wskazaniu: GIST jelita cienkiego (jelito czcze) (ICD-10 C17).

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Wskazanie dotyczy chorego po wcześniejszym zastosowaniu terapii imatynibem, sunitynibem oraz sorafenibem, z powodu GIST zlokalizowanego w jelicie czczym. Regorafenib jest zarejestrowany do stosowania u chorych z nieoperacyjnymi lub przerzutowymi nowotworami podścieliskowymi przewodu pokarmowego (ang. gastrointestinal stromal tumors, GIST), u których doszło do progresji lub nietolerancji uprzedniego leczenia imatynibem i sunitynibem. Produkt leczniczy Stivarga był oceniany dwukrotnie w Agencji, w zbliżonych wskazaniach (GIST jelita krętego u pacjenta po niepowodzeniu leczenia imatynibem, sunitynibem i sorafenibem oraz GIST dwunastnicy po niepowodzeniu leczenia imatynibem, sunitynibem i sorafenibem). Zarówno Rada Przejrzystości, jak i Prezes Agencji, wydali pozytywne opinie dla tych wniosków w sprawie finansowania analizowanej technologii w ramach procedury RDTL.

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Leczenie regorafenibem u chorych na GIST, opornych na imatynib i sunitynib, stanowi zarejestrowaną opcję, w ramach III linii postępowania. W wyniku przeprowadzonego przeglądu, nie odnaleziono badań pierwotnych, spełniających kryteria włączenia, ze względu na zastosowaną definicję populacji, zakładającą zastosowanie regorafenibu w IV linii leczenia.

Odnalezione wytyczne jednoznacznie zalecają zastosowanie regorafenibu wcześniej niż w zleceniu. Wyjątkiem są wytyczne PTOK z 2017, które zalecają sorafenib w III linii leczenia, a dowody na skuteczność mają niższy poziom,



niż przemawiające za wykorzystaniem regorafenibu. Wg ESMO z 2018 i NCCN z 2020 regorafenib w dawce 160 mg dziennie przez 3 z 4 tygodni jest standardową terapią trzeciego rzutu dla pacjentów, u których dochodzi do progresji lub stwierdza się brak odpowiedzi na imatynib i sunitynib [I, A].

Bezpieczeństwo stosowania

Podstawowym ograniczeniem oceny jest nieodnalezienie wysokiej jakości dowodów naukowych, dotyczących stosowania regorafenibu jako monoterapii w populacji chorych z GIST, po wcześniej stosowanych trzech liniach leczenia.

Głównym obserwowanym działaniem niepożądanym w podobnym wskazaniu był „zespół ręka-stopa” i biegunka w maksymalnym 2. stopniu nasilenia, zgodnie z klasyfikacją CDC. Zdarzenia niepożądane obserwowano najczęściej w trzecim tygodniu terapii.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

EMA uznała, że korzyści stosowania Stivarga u chorych z GIST przewyższają ryzyko, chociaż komitet CHMP zauważył, że prognoza jest pesymistyczna dla pacjentów, u których choroba nasiliła się, pomimo wcześniejszego leczenia. U tych chorych lek opóźnia nasilenie się choroby. Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania została oceniona przez EMA na etapie rejestracji. W związku z faktem, że lek zarejestrowano w rozważanym wskazaniu, jakim jest nowotwór podścieliskowy przewodu pokarmowego – GIST, po niepowodzeniu lub nietolerancji poprzedniego leczenia, obejmującego m.in. imatynib i sunitynib, można wnioskować, że relacja ta jest pozytywna.

Konkurencyjność cenowa

Wg załączonego wniosku, koszt 3 cykli terapii wynosi ██████████ PLN brutto. W ocenianym wskazaniu brak jest alternatywy dla ocenianej technologii lekowej

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

Docelową populacją chorych jest grupa zakwalifikowana do III i kolejnej linii leczenia GIST, czyli 72 osoby w 2019 roku. Przy założeniu ww. kosztu 3 cykli leczenia, docelowy poziom finansowania ze środków publicznych wynosi ok. ██████████ PLN.

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

Odnalezione rekomendacje zalecają zastosowanie regorafenibu po sunitynibie, czyli wcześniej niż w 3 linii leczenia. W ocenianym wskazaniu brak jest alternatywnej technologii lekowej.

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.422.13.2020 „Stivarga (regorafenib) we wskazaniu GIST jelita cienkiego (jelito czcze) (ICD-10 C17)”, data ukończenia: 23.09.2020 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.