



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 275/2020 z dnia 19 października 2020 roku
w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych,
w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku
Opdivo (niwolumab) we wskazaniu: mięsak prążkowanokomórkowy
pęcherzykowy trzustki (ICD - 10: C49.2)

Rada Przejrzystości uważa za niezasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Opdivo (niwolumab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, fiołki 10 mg/ml, we wskazaniu: mięsak prążkowanokomórkowy pęcherzykowy trzustki (ICD - 10: C49.2).

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Mięśniakomięsaki prążkowanokomórkowe (rhabdomyosarcoma – RMS) to rzadkie, złośliwe nowotwory wywodzące się z komórek mięśni szkieletowych. Mięśniakomięsaki prążkowanokomórkowe pęcherzykowe występują u 20-25% chorych na RMS, najczęściej u młodzieży i młodych dorosłych. Rokowanie w RMS jest bardzo złe. Czas przeżycia całkowitego w chorobie zaawansowanej wynosi 8-10 miesięcy.

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Oceniona została tylko w jednym badaniu drugiej fazy ADVL1412, w którym 11 pacjentów z szerszym wskazaniem - mięsakiem prążkowanokomórkowym otrzymało leczenie niwolumabem. Nie odnotowano żadnego przypadku odpowiedzi na leczenie.

Bezpieczeństwo stosowania

Słabo poznane w grupie pediatrycznej. U dorosłych, najczęstszą ogólną toksycznością jest niedokrwistość -47% i zmęczenie -37%.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Nie zostały wykazane. Terapia ta ma charakter wybitnie eksperymentalny. W ocenianym wskazaniu, również EMA nie oceniła stosunku korzyści do ryzyka ich stosowania.



Konkurencyjność cenowa

Nie do oceny, z uwagi na brak komparatora.

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

W przypadku finansowania świadczenia ze środków publicznych, koszty netto 3 miesięcy terapii lekiem Opdivo dla jednego pacjenta wyniosą [REDACTED].

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

Na tym etapie choroby wszystkie alternatywne technologie zostały już wykorzystane.

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.422.125.2020 „Opdivo (niwolumab) we wskazaniu: mięsak prążkowanokomórkowy pęcherzykowy (ICD - 10: C49.2) w populacji pediatrycznej”, data ukończenia: 14.10.2020 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone kolorem czarnym stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców Bristol - Myers Squibb Pharma EEIG.

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Bristol - Myers Squibb Pharma EEIG 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: Bristol - Myers Squibb Pharma EEIG.