



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 294/2020 z dnia 2 listopada 2020 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych,  
w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku  
Torisel (temsylolimus) we wskazaniu: rak chromofobny nerki  
z rozsiewem (ICD-10: C64)

*Rada Przejrzystości uważa za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Torisel (temsylolimus), koncentrat i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu, ampułka 30 mg, we wskazaniu: rak chromofobny nerki z rozsiewem (ICD-10: C64).*

#### Uzasadnienie

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

*Wniosek dotyczy chorego na raka chromofobnego nerki w fazie uogólnienia choroby. Po nefrektomii nastąpiła u chorego wznowa miejscowa i rozsiew. Chory był poddany limfadenektomii z metastatektomią oraz radioterapii. Choroba aktualnie ulega progresji. Brak aktywnego leczenia choroby doprowadzi do jej dalszej progresji, pogorszenia stanu pacjenta, a w konsekwencji do jego śmierci.*

##### Skuteczność kliniczna i praktyczna

*W ramach przeglądu odnaleziono 2 badania dotyczące oceny skuteczności i bezpieczeństwa leczenia temsylolimusem u pacjentów z niejasnokomórkowym rakiem nerki: retrospektywne badanie Lee 2018 - dot. oceny skuteczności u pacjentów leczonych temsylolimusem w pierwszej linii oraz retrospektywne badanie Lee 2019 - dot. oceny skuteczności i bezpieczeństwa temsylolimusu u pacjentów uprzednio nieleczonych. Oba badania dotyczyły azjatyckiej populacji chorych. W badaniu Lee 2018 rak chromofobowy rozpoznano u 13 chorych. Mediana OS wyniosła 34 miesiące u pacjentów z podtypem chromofobowym, 11 miesięcy u pacjentów z niesklasyfikowanym podtypem, 8 miesięcy u pacjentów z podtypem brodawkowatym i 2 miesiące u pacjentów z podtypem mięsaka. Dla populacji ogólnej odsetek kontroli choroby (DCR) wyniósł, w tym badaniu, 48,7%. Wyniki badania Lee 2019 potwierdzają generalnie aktywność temsylolimusu w omawianym wskazaniu.*



### Bezpieczeństwo stosowania

Najczęstszymi zdarzeniami niepożądanymi odnotowywanymi w badaniach były zapalenia jamy ustnej (34%), zmęczenie (27%), anoreksja (18%) i wysypka (16%). Najczęstszymi nieprawidłowościami w badaniach laboratoryjnych i obrazowych były hiperglikemia (23%), hipercholesterolemia (18%), hipertriglicerydemia (16%) i niezakaźne zapalenie płuc (16%). Bezpieczeństwo stosowania leku jest dobrze poznane we wskazaniach rejestracyjnych.

### Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Raport EMA wskazuje na wyższą skuteczność temsyrolimusu w porównaniu do interferonu alfa w wydłużaniu przeżycia pacjentów z zaawansowanym rakiem nerkowokomórkowym ze niekorzystnymi rokowaniami na poprawę zdrowia.

### Konkurencyjność cenowa

Dla jednego pacjenta oszacowany koszt 3-miesięcznej terapii sunitynibem (42 616,08 brutto) lub pazopanibem (37 558,08 brutto) jest [REDAKTOWANE], niż koszt 3-miesięcznej terapii temsyrolimusem ([REDAKTOWANE] brutto).

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

Zgodnie z raportem AOTMiT Nr: OT.422.131.2020 nie jest możliwe oszacowanie liczby pacjentów, u których można zastosować wnioskowaną technologię lekową w ramach RDTL. Tym samym, nie można oszacować wpływu stosowania leku w ramach RDTL na wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorców.

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

Odnalezione wytyczne kliniczne jako terapie alternatywne, które można zastosować w ocenianym wskazaniu wskazują: sunitynib, pazopanib oraz ewerolimus. Mediana OS dla pazopanibu i sunitynibu stosowanych w uogólnionym raku nerkowokomórkowym wyniosła, odpowiednio, 28.3 i 29.1 miesiąca. Wg badania Lee 2018 u pacjentów z podtypem chromofobowym, u których stosowano temsyrolimus mediana OS wyniosła 34 miesiące. Zgodnie z CHPL dla sunitynibu i pazopanibu stosowanie tych leków niesie za sobą różne działania niepożądane typowe dla leków o mechanizmie działania inhibitorów wielokinazowych.

**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.422.131.2020 „Torisel (temsylolimus) we wskazaniu: rak chromofobny nerki z rozsiewem (ICD10: C64)”.  
Data ukończenia: 28.10.2020 r.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

*Dane zakreślone kolorem czarnym stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców Pfizer Limited.*

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem Pfizer Limited 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:** Pfizer Limited.