



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 13/2021 z dnia 8 lutego 2021 roku
w sprawie oceny leku Cabometyx (cabozantinibum) w ramach
programu lekowego „Leczenie raka nerki (ICD 10 C64)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktów leczniczych:

- *Cabometyx (cabozantinibum), 30 tabletek powlekanych 20 mg, EAN 03582186003947*
- *Cabometyx (cabozantinibum), 30 tabletek powlekanych 40 mg, EAN 03582186003954*
- *Cabometyx (cabozantinibum), 30 tabletek powlekanych 60 mg, EAN 03582186003961,*

w ramach programu lekowego „Leczenie raka nerki (ICD 10 C64)”, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie ich bezpłatnie, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.

Rada Przejrzystości zgłasza uwagę do propozycji instrumentu dzielenia ryzyka, za niezbędne uważa

[Redacted content]



Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Rak nerki, czyli rak nerkowokomórkowy jest nowotworem złośliwym wywodzącym się w większości przypadków z nabłonka cewek krętych bliższych, a bardzo rzadko z innych struktur nerki. Histologicznie około 80% guzów to rak jasnokomórkowy. Rak nerkowokomórkowy stanowi 2-3% nowotworów złośliwych. Jego największą częstość odnotowuje się w Europie Zachodniej i w Stanach Zjednoczonych. Wśród chorych dominują mężczyźni, a szczyt zachorowań obserwuje się między 60. a 70. rokiem życia.

Według Krajowego Rejestru Nowotworów (KRN) w 2017 roku w Polsce odnotowano 5 232 nowych zachorowań (3 144 u mężczyzn, 2 088 u kobiet) i 2 464 zgonów (odpowiednio, 1 525 i 939) spowodowanych RCC.

Dowody naukowe

Nie odnaleziono badań RCT mających na celu wykazanie skuteczności ocenianej technologii w porównaniu z placebo lub leczeniem wspomagającym nie będącym aktywnym leczeniem, w związku z czym analizę oparto na porównaniach pośrednich danych z dwóch badań klinicznych przez wspólny komparator ewerolimus - badanie METEOR (kabozantynib vs ewerolimus) oraz badanie RECORD-1 (ewerolimus vs placebo). Zastosowanie kabozantynibu w ramach badania METEOR w porównaniu z ewerolimusem wiązało się ze znamiennej redukcją ryzyka zarówno zgonu — o 30%, jak i progresji — o 42%. Kabozantynib pozwolił na uzyskanie korzyści klinicznych u 87% chorych z odsetkiem obiektywnych odpowiedzi na poziomie 24%, a tylko niecałe 10% chorych nie odnosiło żadnej korzyści z zastosowania tego leku.

Do opracowania włączono dodatkowo 2 opracowania wtórne (Edwards 2018; Amzal 2017), których głównym celem była ocena skuteczności klinicznej kabozantynibu, BSC, a także komparatorów: sorafenibu, aksytynibu, ewerolimusu i niwolumabu u osób z RCC, które wcześniej były leczone. W obu zidentyfikowanych opracowaniach wtórnych uwzględniono badania włączone do niniejszej analizy, tj. METEOR (kabozantynib vs ewerolimus) oraz RECORD-1 (ewerolimus/BSC vs placebo/BSC). Wykazano, że kabozantynib charakteryzuje się dłuższym PFS niż ewerolimus, obie terapie są skuteczniejsze niż placebo. Kabozantynib wiąże się z dłuższym czasem przeżycia całkowitego w porównaniu z ewerolimusem. We wnioskach zauważono, że kabozantynib może być najbardziej skutecznym lekiem pod względem wpływu na PFS i OS. Kolejnym lekiem pod względem skuteczności jest niwolumab. Wszystkie terapie opóźniają postęp choroby i wydłużają przeżycie w porównaniu z brakiem leczenia aktywnego - placebo, chociaż wykazano niejednorodność wyników.

Klinicznie istotne działania niepożądane kabozantynibu dotyczyły przede wszystkim występowania biegunek, o częstości i nasileniu wyraźnie większych niż

w przypadku przyjmowania innych TKI. Pomimo częstszego występowania działań niepożądanych w ramieniu otrzymującym kabozantynib, jakość życia chorych leczonych tym lekiem nie różniła się istotnie w odniesieniu do ewerolimusu. Dodatkowo, czas do istotnego pogorszenia jakości życia chorych był istotnie dłuższy w przypadku kabozantynibu.

W odniesieniu do analizowanego wniosku opublikowane w 2020 zalecenia PTOK wskazują, że leczenie trzeciej linii powinno być rozważane u chorych na uogólnionego raka jasnokomórkowego nerki w dobrym stanie ogólnym, bez przeciwwskazań do leczenia systemowego (III, A), po sekwencyjnym leczeniu inhibitorem kinazy tyrozynowej i niwolumabem powinni otrzymać w leczeniu trzeciej linii kabozantynib (I, B).

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

Problem ekonomiczny

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych i cena progowa



Główne argumenty decyzji

Głównym argumentem Rady, przemawiającym za pozytywną opinią w zakresie objęcia refundacją leku kabozantynib, jest jego skuteczność kliniczna i konieczność zapewnienia pacjentom z rakiem nerki dostępu do III linii terapii.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2020 r., poz. 357, z późn. zm.), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2020 r., poz. 1398), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OT.4331.47.2020 „Wniosek o objęcie refundacją leku Cabometyx (kabozantynib) w ramach programu lekowego: leczenie raka nerki (ICD-10 C64)”, data ukończenia: 27 stycznia 2021 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy Ipsen Pharma S.A.S.

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Ipsen Pharma S.A.S. 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: Ipsen Pharma S.A.S.