



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 13/2021 z dnia 18 stycznia 2021 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Halaven (erybulina), w skojarzeniu z lekiem Keytruda (pembrolizumab), we wskazaniu: mięsak wątroby (ICD-10: C49)

Rada Przejrzystości uważa za niezasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Halaven (erybulina), roztwór do wstrzykiwań, fiołka 0,88 mg/2 ml, w skojarzeniu z lekiem Keytruda (pembrolizumab), we wskazaniu: mięsak wątroby (ICD-10: C49).

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Wniosek dotyczy leków stosowanych w skojarzeniu:

- *Halaven (erybulina) roztwór do wstrzykiwań, fiołka 0,88 mg/2 ml,*
- *Keytruda (pembrolizumab) proszek do sporządzania koncentratu roztworu do infuzji, 25 mg/ml,*

we wskazaniu: mięsak wątroby (ICD10: C49), w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych (RDTL). Wniosek dotyczy chorego z rozpoznaniem rzadkiego podtypu guza wątroby (ang. malignant solitary fibrous tumor), stan po resekcji lewego płata wątroby, z przerzutami do płuc. Stan ogólny chorego określa się jako bardzo dobry, a stan sprawności wg skali ocenia się na ECOG - 0. Pacjent jest osobą młodą, aktywną zawodowo, bez chorób współtowarzyszących.

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Nie odnaleziono dowodów naukowych spełniających predefiniowane kryteria włączenia. W ramach dodatkowo przeprowadzonego przeglądu niesystematycznego odnaleziono jedynie abstrakt konferencyjny Nathenson 2020, opisujący wyniki jednoramiennego badania II fazy, w którym oceniano skuteczność stosowania erybuliny w skojarzeniu z pembrolizumabem u pacjentów z przerzutowymi mięsakami tkanek miękkich (tłuszczakomięsakiem, mięśniakomięsakiem gładkokomórkowym lub niezróżnicowanym/



niesklasyfikowanym mięsakiem wielopostaciowym), a więc wyniki te nie odnoszą się do wnioskowanej postaci choroby.

Bezpieczeństwo stosowania

Do najczęściej obserwowanych działań niepożądanych, występujących w związku ze stosowaniem produktu Halaven, należy supresja szpiku kostnego, co objawia się jako neutropenia, leukopenia, niedokrwistość, małopłytkowość oraz powiązane zakażenia. Pośród działań niepożądanych występuje również toksyczność w kierunku układu pokarmowego, co objawia się jako zaburzenia łaknienia, nudności, wymioty, biegunka, zaparcie oraz zapalenie jamy ustnej.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Wskazanie, którego dotyczy wniosek nie zawiera się we wskazaniach rejestracyjnych produktów leczniczych Halaven i Keytruda. Tym samym dla niniejszego wskazania EMA nie przeprowadziła oceny relacji korzyści do ryzyka.

Zganie z informacją zawartą w raporcie analitycznym, Konsultant Wojewódzki w dziedzinie onkologii klinicznej zaopiniowała wniosek pozytywnie, wskazując: „Aktualnie u przedstawionego pacjenta brak jest możliwości leczenia z uwagi na przebyte leczenie i zastosowanie wszystkich dostępnych metod leczenia. Z uwagi na przetrwałą chorobę i pełną wydolność pacjenta jedynie możliwe do zastosowania jest leczenie eksperymentalne z pełną akceptacją ze strony pacjenta, a przede wszystkim po uzyskaniu zgody z Komisji Bioetycznej”.

Konkurencyjność cenowa

Koszt brutto 3-miesięcznej terapii lekami Halaven (erybulina) i Keytruda (pembrolizumab) wyniesie ████████ PLN (w tym 21 fiolek preparatu Halaven).

Jako technologię alternatywną przyjęto sorafenib. Zgodnie z aktualnym Obwieszczeniem MZ, koszt 3-miesięcznej terapii lekiem Nexavar, przy założeniu dawkowania zgodnie z ChPL, wyniesie 57 337 PLN (4 opakowania leku Nexavar).

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

Nie jest możliwe oszacowanie liczby pacjentów, u których można zastosować wnioskowaną technologię lekową w ramach RDTL, ze względu na brak możliwości pozyskania danych NFZ, dotyczących pacjentów z włókniakiem mięsakiem wątroby, u których stosowano wiele linii leczenia.

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

Analizując dotychczasowy przebieg terapii chorego jako technologię alternatywną dla leczenia erybuliną w skojarzeniu z pembrolizumabem należy uznać sorafenib. Należy zauważyć, iż sorafenib, podobnie jak pazopanib i sunitynib, stanowią drobnocząsteczkowe inhibitory kinaz tyrozynowych

receptora VEGF. Sorafenib stanowi jednak jednocześnie inhibitor kinaz serynowo-treoninowych, z tego względu przyjęto, iż może on wykazywać inną aktywność przeciwnowotworową niż zastosowany już u pacjenta pazopanib. Koszt 3-miesięcznej terapii wynosi brutto 57 337,32 PLN.

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 późn. zm.), opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych nr: OT.422.173.2020 OT.422.174.2020 „Halaven (erybulina) w skojarzeniu z Keytruda (pembrolizumab) we wskazaniu: mięsak wątroby (ICD10: C49)”. Data ukończenia: 12.01.2021 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone kolorem czarnym stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców Eisai GmbH, Merck Sharp & Dohme B.V.

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Eisai GmbH, Merck Sharp & Dohme 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: Eisai GmbH, Merck Sharp & Dohme B.V.