



Warszawa, dnia 17 lutego 2025 r.

---

Znak sprawy: BP.422.6.2025.MKS  
Kontakt: Michał K. Skroński, starszy specjalista  
e-mail: [m.skronski@aotm.gov.pl](mailto:m.skronski@aotm.gov.pl)  
tel.: 22 101 46 48

---

Pan  
**Marek Kos**  
Podsekretarz Stanu  
Ministerstwo Zdrowia

Szanowny Panie Ministrze,

w odpowiedzi na zlecenie Ministra Zdrowia przekazane pismem z dnia 22 listopada 2024 r. (znak: PLR2.4503.3.2.2024.KK), wydane na podstawie art. 31n ust. 5 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych i dotyczące wydania opinii dotyczącej przeniesienia substancji czynnej sorafenib z programu lekowego B.119 do katalogu leków refundowanych w chemioterapii uprzejmie proszę o zapoznanie się z przedstawioną poniżej opinią w przedmiotowej sprawie:

**Opinia Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr 16/2025 z dnia 17 lutego 2025 r. w sprawie przeniesienia substancji czynnej sorafenib z programu lekowego: B.119 Leczenie pacjentów ze zróżnicowanym rakiem tarczycy (ICD-10: C73) do katalogu leków refundowanych w chemioterapii.**

## Metodyka oceny

Procedowana zmiana dotyczy zmiany kategorii dostępności refundacyjnej dla substancji czynnej sorafenib. Należy mieć na uwadze, że zgodnie ze zleceniem zmiana ta jest rozpatrywana szerzej – z jednoczesnym połączeniem grup limitowych dla sorafenibu (przedmiot Opinii Prezesa nr 15/2025).

Celem oceny zasadności utworzenia wspólnej grupy limitowej przeprowadzono prace analityczne obejmujące kilka obszarów:

- I. Rozpatrzenie aktualnego oraz proponowanego brzmienia wskazań pod kątem zgodności z Charakterystyką Produktu Leczniczego.
- II. Przegląd kryteriów dla populacji analizowanej w rejestracyjnym badaniu klinicznym.
- III. Prognoza zmian w zakresie liczebności populacji i wynikający z niej wpływ na wydatki płatnika publicznego.

## Charakterystyka Produktu Leczniczego

Wskazanie rejestracyjne dla sorafenibu w leczeniu raka tarczycy jest następujące: leczenie pacjentów z postępującym, miejscowo zaawansowanym lub z przerzutami, zróżnicowanym (brodawkowym / pęcherzykowym / z komórek Hürthle'a) rakiem tarczycy, opornym na leczenie jodem radioaktywnym [DTC].

W odniesieniu do DTC zgodnie z ChPL bezpieczeństwo stosowania i skuteczność produktu leczniczego Nexavar wykazano w międzynarodowym, wieloośrodkowym, randomizowanym, podwójnie zaślepionym, kontrolowanym placebo badaniu III fazy. Badanie to objęło 417 pacjentów. Główne kryteria kwalifikacji stanowiły stadium zaawansowane nowotworu, progresja choroby w ciągu 14 miesięcy przed włączeniem i DTC oporny na leczenie jodem radioaktywnym (RAI). DTC oporny na RAI był zdefiniowany jako obecność zmiany bez wychwyty RAI na skanie RAI lub otrzymujący łączną dawkę RAI  $\geq 22,2$  GBq lub jako obecność progresji po leczeniu RAI w ciągu 16 miesięcy od zakwalifikowania lub po dwóch cyklach RAI w odstępie 16 miesięcy. U większości pacjentów stwierdzono obecność raka brodawkowego (56,8%), następnie pęcherzykowego (25,4%) i słabo zróżnicowanego<sup>1</sup> (9,6%).

Wpływ sorafenibu na czas przeżycia wolnego od progresji był istotny statystycznie, różnica względem placebo wyniosła 5 miesięcy. Efekt był spójny niezależnie od obszaru geograficznego, wieku powyżej lub poniżej 60 lat, płci, podtypu histologicznego raka i obecności lub nieobecności przerzutów do kości. Zgodnie z wynikami badania nie było znamiennej statystycznie różnicy w przeżyciu całkowitym między leczonymi grupami. Nie zaobserwowano żadnej odpowiedzi całkowitej na leczenie sorafenibem wg kryteriów RECIST.

Proponowane brzmienie wskazania dla sorafenibum jest następujące: brodawkowy, pęcherzykowy lub onkocytny rak tarczycy w stadium zaawansowanym (miejscowy nawrót, wznowa lub przerzuty odległe), który nie kwalifikuje się do leczenia miejscowego z opornością na jod promieniotwórczy (udokumentowana nieskuteczność leczenia radioaktywnym jodem rozumiana jako obecność co najmniej jednej zmiany nie wychwytyjącej jodu lub progresji pomimo wychwyty jodu lub wyczerpanie łącznej kumulatywnej dawki jodu wynoszącej co najmniej 600 mCi<sup>2</sup>) lub niekwalifikujący się do tej terapii, ze stwierdzoną progresją choroby w okresie do 14 miesięcy przed włączeniem do programu.

Mając na uwadze dokumentację rejestracyjną należy zauważyć, że proponowane brzmienie wskazania refundacyjnego dla leczenia zróżnicowanego raka tarczycy sorafenibem jest spójne z dowodami naukowymi, stanowiącymi podstawę rejestracji. Niemniej, brzmienie wskazania rejestracyjnego nie obejmuje kwestii związanych z definicją oporności, czy maksymalnego okresu, w którym stwierdzono progresję choroby i jest sformułowane bardziej ogólnie.

## Wpływ na budżet płatnika publicznego

W latach 2014-2024 (I połowa) obserwowano spadek sprawozdawanej w programach lekowych, chemio i radioterapii liczby pacjentów z rozpoznaniem C73, wskazującym na raka tarczycy. W 2014 r. było to 4 814 pacjentów, głównie korzystających z terapii izotopowej (95%), w ostatnim w pełni sprawozdanym 2023 roku było to 3 795 pacjentów, również w zdecydowanej większości sprawozdanych w leczeniu izotopami (89%). Program lekowy B.119 został wprowadzony wraz z wejściem w życie obwieszczenia na lipiec 2021 r., pierwszy pacjent, u którego sprawozdano sorafenib został odnotowany we wrześniu. Dostępne dane NFZ do końca pierwszej połowy 2024 r. wskazują, że przedmiotową substancję czynną łącznie podano u 109 pacjentów (15, 62, 65, 53 odpowiednio w kolejnych latach). Średni roczny koszt leczenia w pełnych latach sprawozdawczych (2022-2023) wyniósł 18,3 tys. zł.

---

<sup>1</sup> m.in. z komórek Hürthle'a

<sup>2</sup> 600 Milicurie [mCi] = 22,2 Gigabecquerel [Gbp]

Mając na uwadze funkcjonowanie programu od ponad trzech lat oraz utrzymanie brzmienia kryteriów kwalifikacji nie należy oczekiwać znaczącego wzrostu zainteresowania klinicystów sorafenibem w leczeniu raka tarczycy.

Analiza w podejściu konserwatywnym, w której założono znaczący wzrost populacji w związku z utworzeniem wspólnej grupy limitowej oraz ujednoczeniem kategorii refundacyjnej wykazała oszczędności płatnika rzędu 3,5 mln zł.

## Podsumowanie

Prezes Agencji biorąc pod uwagę wyniki wpływu na budżet płatnika publicznego **pozytywnie ocenia zasadność** przeniesienia substancji czynnej sorafenib z programu lekowego: B.119 Leczenie pacjentów ze zróżnicowanym rakiem tarczycy (ICD-10: C73) do katalogu leków refundowanych w chemioterapii.

Należy mieć również na uwadze rozstrzygnięcie w Opinii powiązanej nr 15/2025.

Do rozważenia pozostaje kwestia nadania brzmienia podstawowego kryterium kwalifikacji zgodnie z katalogiem typów raka tarczycy zawartym we wskazaniu rejestracyjnym, czyli rak tarczycy typu brodawkowatego, pęcherzykowego lub z komórek Hürthle'a, na rzecz określenia rak onkocytny. Zmiana miałaby wyłącznie charakter porządkowy.

Z wyrazami szacunku

PREZES

Daniel Rutkowski

/dokument podpisany elektronicznie/

### Załączniki

- Opinia Rady Przejrzystości nr 31/2025 z dnia 17 lutego 2025 roku w sprawie przeniesienia substancji czynnej sorafenib z programu lekowego B.119. do katalogu leków refundowanych w chemioterapii oraz utworzenia wspólnej grupy limitowej
- Raport nr: OT.422.0.80.2024; Opracowanie dotyczące zmiany dostępności refundacyjnej produktów leczniczych zawierających substancję czynną sorafenib z programu lekowego B.119: „Leczenie pacjentów ze zróżnicowanym rakiem tarczycy (ICD-10: C 73)” do katalogu leków refundowanych w chemioterapii; Data ukończenia: 12 lutego 2025 r.

Do wiadomości

Pan Jerzy Szafranowicz, Podsekretarz Stanu, Ministerstwo Zdrowia