



Rekomendacja nr 51/2015

z dnia 8 czerwca 2015 r.

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w sprawie objęcia refundacją produktu leczniczego Cometriq, kabozantynib, kapsułki twarde, 20 mg +80 mg, 112 kapsułek w ramach programu lekowego „Leczenie raka rdzeniastego tarczycy kabozantynibem (ICD-10 C73)”

Prezes Agencji nie rekomenduje objęcia refundacją produktu leczniczego Cometriq, kabozantynib, kapsułki twarde, 20 mg +80 mg, 112 kapsułek w ramach programu lekowego „Leczenie raka rdzeniastego tarczycy kabozantynibem (ICD-10 C73)”.

Uzasadnienie rekomendacji

Prezes Agencji, przychyłając się do stanowiska Rady uważa, że dostępne dowody naukowe w niewystarczającym stopniu dowodzą skuteczności klinicznej, aby objąć finansowaniem ze środków publicznych wnioskowaną technologię.

Badanie, na podstawie którego wnioskodawca dowodzi skuteczności i bezpieczeństwa terapii nie zostało dotychczas ukończone, a w konsekwencji nie przedstawiono ostatecznych wyników. Wskutek braku pełnych danych wnioskowanie na jego podstawie jest ograniczone. Zgodnie z proponowanym programem lekowym, jednym z kryteriów kwalifikacji do leczenia jest stwierdzona mutacja RET M918T. Natomiast badanie było przeprowadzone na szerszej populacji, a dopiero analiza wcześniej zdefiniowanych podgrup pozwoliła na uzyskanie wyników w populacji pacjentów z mutacją.

Wyniki analizy klinicznej wskazują na znaczną ilość wywoływanych zdarzeń niepożądanych najprawdopodobniej związanych z leczeniem, a co za tym idzie przerwanie leczenia czy też zmniejszenie dawki leku. Badanie nie przedstawiło w sposób wystarczający przewagi korzyści nad ryzykiem wystąpienia działań niepożądanych związanych z leczeniem.

Zgodnie z oszacowaniem przedstawionym w analizie ekonomicznej wnioskodawcy, stosowanie kabozantynibu w porównaniu z placebo w leczeniu rdzeniastego raka tarczycy jest nieefektywne kosztowo. Dodatkowo założenia przedstawione przez wnioskodawcę (uwzględnienie nieistotnych statystycznie wyników dla przeżycia całkowitego oraz 80-letni horyzont czasowy) mogą nie odzwierciedlać rzeczywistości płatnika, co w efekcie prowadzić



może do zwiększenia współczynnika ICUR (dodatkowego pogorszenia efektywności kosztowej).

Wyliczenia populacji przedstawione przez wnioskodawcę w analizie wpływu na budżet oparte są o założenia, które możliwe, że nie odpowiadają aktualnym warunkom i są niedoszacowane. Ze względu na wysoki koszt terapii jednego pacjenta, niepewność w określeniu populacji naraża płatnika na nieprzewidziane wydatki.

Przedmiot wniosku

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy zasadności finansowania ze środków publicznych produktu leczniczego Cometriq, kabozantynib, kapsułki twarde, 20 mg +80 mg, 112 kapsułek (140 mg/dobę), kod EAN: 5909991185732, dla którego proponowana we wniosku o objęcie refundacją cena zbytu netto wynosi [redacted]. Proponowana kategoria dostępności refundacyjnej z wniosku refundacyjnego złożonego do Ministerstwa Zdrowia to: lek stosowany w ramach programu lekowego, z poziomem odpłatności dla pacjenta: bezpłatnie, w ramach nowej grupy limitowej. Podmiot odpowiedzialny nie przedstawił propozycji instrumentu dzielenia ryzyka.

Problem zdrowotny

Rak rdzeniasty tarczycy (MTC – ang. *Medullary Thyroid Cancer*) jest złośliwym nowotworem wywodzącym się z komórek C (komórek okołopęcherzykowych) wytwarzających kalcytoninę. Nowotwór ten stanowi 5-10% (według innych źródeł 5-8%) wszystkich nowotworów tarczycy z czego 75% to postać sporadyczna. U pozostałych pacjentów rozpoznaje się postać dziedziczną. Zgodnie z danymi Krajowego Rejestru Nowotworów w 2012 roku odnotowano 2641 zachorowań na raka tarczycy (464 mężczyzn, 2177 kobiet) oraz 282 zgonów (81 mężczyzn, 201 kobiet). W przybliżeniu w 2012 r. rozpoznano MTC u od 132 do 264 pacjentów.

MTC może przebiegać bezobjawowo, dopiero w stanie znacznego zaawansowania, mogą pojawić się objawy związane z miejscowym uciskiem powodowanym przez rozrost guza (duszność, chrypka, dysfagia). Objawem charakterystycznym lecz rzadko występującym jest uporczywa biegunka. W przypadku podejrzenia wystąpienia raka rdzeniastego zaleca się oznaczenie kalcytoniny, która stanowi czuły marker obecności tego nowotworu.

Przeżycie dziesięcioletnie, w zależności od wieku pacjenta wynosi 75% (pacjenci poniżej 40 lat w momencie postawienia diagnozy) oraz 50% (pacjenci powyżej 40 lat w momencie postawienia diagnozy).

Alternatywna technologia medyczna

Podstawową leczeniem jest resekcja nowotworu. U osób z zaawansowanym nowotworem, u których wystąpiła manifestacja kliniczna stosuje się cytostatyki (doksorubicyna, dakarbazyna, cisplatyna, cyklofosfamid, bleomycyna, fluorouracylu, winkrystyna). W odróżnieniu do innych nowotworów tarczycy, leczenie jodem promieniotwórczym w przypadku raka rdzeniastego tarczycy nie jest zalecane.

Zgodnie z opiniami ekspertów klinicznych oraz analizą wnioskodawcy brak jest refundowanej alternatywnej technologii w omawianym wskazaniu. Zgodnie z aktualnym obwieszczeniem we wskazaniu odpowiadającym kodowi ICD-10 C73 (nowotwór złośliwy tarczycy), które stanowi populację szerszą niż wnioskowana, refundowane są: karboplatyna, cisplatyna, cyklofosfamid, dakarbazyna, doksorubicyna, etopozyd, ifosfamid, winblastyna, winkrystyna, winorelbina. Dodatkowo możliwe jest zastosowanie analogów somatostatyny (oktreotyd i lanreotyd) oraz teleradioterapii.

Opis wnioskowanego świadczenia

Kabozantynib wpływa na wiele receptorowych kinaz tyrozynowych (RTK), których aktywność przyczynia się do wzrostu nowotworu i rozwoju naczyń, patologicznej przebudowy kości oraz przerzutowej progresji raka.

Ocena skuteczności (klinicznej oraz praktycznej) i bezpieczeństwa

Ocena ta polega na zebraniu danych o konsekwencjach zdrowotnych (skuteczność i bezpieczeństwo) wynikających z zastosowania nowej terapii w danym problemie zdrowotnym oraz innych terapii, które w danym momencie są finansowane ze środków publicznych i stanowią alternatywne leczenie dostępne w danym problemie zdrowotnym. Następnie ocena ta wymaga określenia wiarygodności zebranych danych oraz porównania wyników dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa nowej terapii względem terapii już dostępnych w leczeniu danego problemu zdrowotnego.

Na podstawie powyższego ocena skuteczności i bezpieczeństwa pozwala na uzyskanie odpowiedzi na pytanie o wielkość efektu zdrowotnego (zarówno w zakresie skuteczności, jak i bezpieczeństwa), którego należy oczekiwać względem nowej terapii w porównaniu do innych rozważanych opcji terapeutycznych.

Ocenę skuteczności produktu leczniczego Cometriq oparto na randomizowanym badaniu klinicznym III fazy (EXAM) porównującym kabozantynib z placebo. Jakość metodyczna tego badania oceniono na 4/5 pkt w skali Jadad, zaś mediana okresu obserwacji wynosiła 13,9 (3,6-32,5) miesiąca.

Wnioskodawca dodatkowo porównał kabozantynib z wandetanibem, ale z uwagi na brak użyteczności tego porównania w procesie wydania rekomendacji z uwagi na fakt, że wandetanib nie odzwierciedla praktyki klinicznej finansowanej ze środków publicznych w Polsce nie brano go pod uwagę.

Stosowanie kabozantynibu w porównaniu z placebo wiązało się z istotnie statystycznie:

- dłuższym czasem wolnym od progresji w ocenie niezależnego komitetu radiologicznego (IRC – *Independent Radiology Review Committee*) 11,2 vs 4,0 miesiące – HR=0,28 (95% CI; 0,19-0,40)
- dłuższym czasem wolnym od progresji w ocenie badacza 13,8 vs 3,1 miesiąca – HR=0,29 (95% CI; 0,21-0,42)
- dłuższym czasem wolnym od progresji w populacji zgodnej z protokołem (PP – per protocol) 48,6 vs 16,6 miesiące – HR=0,27 (95% CI; 0,19-0,39)

Nie wykazano istotnej statystycznie różnicy dla:

- czasu przeżycie całkowitego
- czasu trwania odpowiedzi
- czasu trwania stabilizacji choroby.

Bezpieczeństwo

Wyniki badania EXAM wskazują, że stosowanie kabozantynibu w porównaniu z placebo wiąże się z istotnie statystycznie wyższym ryzykiem wystąpienia:

- zdarzeń niepożądanych o nasileniu wg kryteriów CTCAE 3 i 3-4 stopnia;
- co najmniej jednego działania niepożądanego w stopniu nasilenia 3-4;
- zdarzeń niepożądanych potencjalnie związanych z zastosowanym leczeniem w jakimkolwiek stopniu nasilenia;

- ciężkich działań niepożądanych w jakimkolwiek stopniu nasilenia;
- działań niepożądanych prowadzących do trwałego przerwania leczenia w jakimkolwiek stopniu nasilenia;
- zdarzeń niepożądanych najprawdopodobniej związanych z leczeniem: biegunki, zespołu dłoniowo-podeszwowego, zmniejszenia apetytu, zmniejszenia masy ciała, nudności, zmęczenia, zaburzenia smaku, zmiany koloru włosów, zapalenia jamy ustnej, nadciśnienia, zapalenia błon śluzowych, zwiększenia aktywności AspAT, zwiększenia aktywności AlAT, wymiotów, wysypki, podniesienia poziomu dehydrogenazy mleczanowej (LDH) we krwi, suchości skóry, łysienia, bólu brzucha, dysfonii, zaparcia, hipokalcemia, bólu głowy, bólu kończyn, podniesienia poziomu hormonu tyreotropowego (TSH) we krwi, zespołu piekących ust, bólu jamy ustnej i gardła;
- ciężkich zdarzeń niepożądanych najprawdopodobniej związanych z leczeniem: co najmniej jednym zdarzeniem niepożądanym, zaburzenia żołądkowo-jelitowe ogółem, zaburzenia układu oddechowego, klatki piersiowej i śródpiersia ogółem, zaburzenia metabolizmu i odżywiania ogółem oraz zaburzenia naczyniowe ogółem.

Ograniczenia

Należy podkreślić, że istnieją czynniki wpływające na wiarygodność oszacowań dotyczących skuteczności klinicznej i bezpieczeństwa terapii opisanej w analizie klinicznej wnioskodawcy;

- moc badania nastawiona była na pomiar skuteczność kabozatynibu u pacjentów z MTC bez konkretnej podgrupy, a wyniki zostały zaprezentowane dla podgrup wcześniej zdefiniowanych, w zależności od wieku, płci, obecności mutacji;
- utrata pacjentów z badania
- zgodnie z opisem badania dawka początkowa wynosiła 140 mg na dobę i możliwa była redukcja dawkowania w przypadku wystąpienia toksyczności do 60 mg. Ze względu na często występujące działania niepożądane u części pacjentów zastosowano niższe dawkowanie. Nie przedstawiono wyników w zależności od przyjmowanej dawki.

Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka

W ramach złożonych analiz, wnioskodawca nie przedstawił instrumentu podziału ryzyka.

Ocena ekonomiczna, w tym szacunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

Ocena ekonomiczna polega na oszacowaniu i zestawieniu kosztów i efektów zdrowotnych, jakie mogą wiązać się z zastosowaniem u pojedynczego pacjenta nowej terapii zamiast terapii już refundowanych.

Koszty terapii szacowane są w walucie naszego kraju, a efekty zdrowotne wyrażone są najczęściej w zyskanych latach życia (LYG, life years gained) lub w latach życia przeżytych w pełnym zdrowiu (QALY, quality adjusted life years) wskutek zastosowania terapii.

Zestawienie wartości dotyczących kosztów i efektów związanych z zastosowaniem nowej terapii i porównanie ich do kosztów i efektów terapii już refundowanych pozwala na uzyskanie odpowiedzi na pytanie, czy efekt zdrowotny uzyskany u pojedynczego pacjenta dzięki nowej terapii wiąże się z wyższym kosztem w porównaniu do terapii już refundowanych.

Uzyskane wyniki wskaźnika kosztów-efektów zdrowotnych porównuje się z tzw. progiem opłacalności, czyli wynikiem, który sygnalizuje, że przy zasobności naszego kraju (wyrażonej w PKB) maksymalny koszt nowej terapii, która ma wiązać się z uzyskaniem jednostkowego efektu zdrowotnego (1 LYG lub 1 QALY) w porównaniu do terapii już dostępnych, nie powinien przekraczać trzykrotności PKB per capita.

Oszacowany na 2015 rok próg opłacalności wynosi 119 577 zł (3 x 39 859 zł).

Wskaźnik kosztów-efektów zdrowotnych nie szacuje i nie wyznacza wartości życia, pozwala jedynie ocenić i m. in. na tej podstawie dokonać wyboru terapii związanej z potencjalnie najlepszym wykorzystaniem aktualnie dostępnych zasobów.

Wnioskodawca w swoich analizach przeprowadził analizę kosztów-użyteczności z perspektywy płatnika publicznego w 80 letnim horyzoncie czasowym. Oceniono opłacalność stosowania kabozatynibu w porównaniu do opieki wspomagającej, w populacji zgodnej z załączonym proponowanym programem lekowym.

Zgodnie z wynikami przedstawionymi w analizie wnioskodawcy ICUR wynosi:

- 143 705,82 PN/QALY z perspektywy płatnika publicznego;
- 144 000,45 PLN/QALY z perspektywy wspólnej.

Natomiast cena progowa wyliczona przez wnioskodawcę wynosi:

- 17 351,39 PLN z perspektywy płatnika publicznego;
- 17 304,40 PLN z perspektywy wspólnej.

Ograniczenia, które wpływają na niepewności oszacowań przedstawionych przez wnioskodawcę:

- w modelu przedstawionym przez firmę uwzględniono wyniki dla przeżycia całkowitego, które nie były istotne statystycznie oraz pochodziły z niedojrzałej analizy;
- ze względu na brak danych dotyczących jakości życia pacjentów spełniających kryteria włączenia do proponowanego programu lekowego, w modelu wnioskodawcy przyjęto wartości użyteczności pochodzące z badań na populacji pacjentów z mniej zaawansowaną postacią raka tarczycy, co może odnosić się do populacji pacjentów w lepszym stanie zdrowia i nie odpowiadać populacji pacjentów, którzy będą leczeni w ramach programu lekowego. Co może sugerować, że wskaźnik kosztów-użyteczności terapii w warunkach praktyki klinicznej będzie wyższy;
- w modelu wnioskodawcy założono 80 letni horyzont czasowy, natomiast mediana okresu obserwacji wynosiła 13,9 (3,6-32,5) miesiąca.

Wskazanie czy zachodzą okoliczności, o których mowa w art. 13 ust. 3 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. nr 122, poz.696 z późn. zm.)

Jeżeli analiza kliniczna wnioskodawcy nie zawiera randomizowanych badań klinicznych dowodzących wyższości leku nad technologiami medycznymi dotychczas refundowanymi w danym wskazaniu, to urzędowa cena zbytu leku musi być skalkulowana w taki sposób, aby koszt stosowania leku wnioskowanego do objęcia refundacją nie był wyższy niż koszt technologii medycznej o najkorzystniejszym współczynniku uzyskiwanych efektów zdrowotnych do kosztów ich uzyskania.

Zgodnie z aktualnym obwieszczeniem Ministra Zdrowia w omawianym wskazaniu możliwe jest zastosowanie schematu leczenia opartego o podanie cyklofosfamidu, dakarbazyny oraz winkrystyny.

Przy uwzględnieniu:

- dla wymienionego schematu:
 - dawkowanie:
 - 1 dnia cyklu: cyklofosfamid 750 mg/m², winkrystyna 1.4 mg/m² oraz dakarbazyna 600 mg/m²;
 - 2 dnia cyklu: dakarbazyna 600 mg/m²;
 - jeden cykl trwa 21 dni;
 - średnia powierzchnia ciała pacjenta wynosi 1,72 m²;

- uwzględniono uśrednione ceny substancji za mg, dostępne w Obwieszczeniu Ministra Zdrowia z dnia 23 kwietnia 2015 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych;
- dla wnioskowanej interwencji;
 - dawkowanie zgodne z ChPL Cometriq;
- uwzględniono jedynie koszty leków;

koszt stosowania z perspektywy płatnika publicznego, wnioskowanego produktu leczniczego w 21 dniowym horyzoncie czasowym, nie będzie wyższy niż wymienionego schematu przy urzędowej cenie zbytu leku Cometriq równej 628,77 PLN.

Ocena wpływu na system ochrony zdrowia, w tym wpływu na budżet płatnika publicznego

Ocena wpływu na system ochrony zdrowia składa się z dwóch istotnych części.

Po pierwsze, w analizie wpływu na budżet płatnika, pozwala na oszacowanie potencjalnych wydatków związanych z finansowaniem nowej terapii ze środków publicznych.

Szacunki dotyczące wydatków związanych z nową terapią (scenariusz „jutro”) są porównywane z tym ile aktualnie wydajemy na leczenie danego problemu zdrowotnego (scenariusz „dziś”). Na tej podstawie możliwa jest ocena, czy nowa terapia będzie wiązać się z koniecznością przeznaczenia wyższych środków na leczenie danego problemu zdrowotnego, czy też wiąże się z uzyskaniem oszczędności w budżecie płatnika.

Ocena wpływu na budżet pozwala na stwierdzenie, czy płatnik posiada odpowiednie zasoby na finansowanie danej technologii.

Ocena wpływu na system ochrony zdrowia w drugiej części odpowiada na pytanie jak decyzja o finansowaniu nowej terapii może wpłynąć na organizację udzielania świadczeń (szczególnie w kontekście dostosowania do wymogów realizacji nowej terapii) oraz na dostępność innych świadczeń opieki zdrowotnej.

Ocenę wpływu na budżet, związaną z przedstawieniem konsekwencji finansowych wprowadzenia proponowanego programu lekowego, wnioskodawca przedstawił w 2,5-rocznym horyzoncie czasowym. Analizę przeprowadzono z perspektywy płatnika publicznego. W analizie uwzględniono:

- koszt leków;
- koszt porad ambulatoryjnych;
- koszt świadczeń szpitalnych;
- koszt opieki paliatywnej oraz hospicyjnej.

Zgodnie z analizą wnioskodawcy liczba nowych przypadków w ciągu roku, u których wnioskowana technologia będzie stosowana wyniesie:

- 10 pacjentów w okresie VII-XII. 2015 r
- 21 pacjentów w 2016 r
- 22 pacjentów w 2017 r

Analiza kosztów inkrementalnych pokazała, że dla wariantu najbardziej prawdopodobnego objęcie refundacją leku Cometriq będzie wiązało się z dodatkowymi kosztami z perspektywy NFZ w wysokości:

- 848 052 w okresie VII-XII. 2015 r
- 2 573 224 w 2016 r
- 3 699 216 w 2017 r

W analizie uwzględniono, że odsetek potwierdzonej obecności mutacji protoonkogenu RET wynosi 48,2%. Wartość ta została wyliczona na podstawie badania EXAM, jednakże do jej oszacowania brano również pod uwagę pacjentów, u których nie znany był status mutacji RET (dane dotyczące mutacji nie były wymagane w ramach kwalifikacji). W momencie, gdy do oszacowania odsetka weźmiemy pod uwagę tylko osoby o znanym statusie mutacji RET, to wartość ta będzie wynosić 76,5%, a wtedy roczna liczba pacjentów, u których wnioskowana technologia będzie stosowana wyniesie (przy zmianie jedynie wartości odsetka, pozostałe parametry w modelu wnioskodawcy nie uległy zmianie):

- 16 pacjentów w okresie VII-XII. 2015 r
- 33 pacjentów w 2016 r
- 35 pacjentów w 2017 r

Wnioskodawca w swoich analizach przyjął odsetek pacjentów z rakiem rdzeniastym tarczycy wśród ogólnej populacji chorych z rakiem tarczycy na 5,9%. Natomiast maksymalna wartość odnaleziono w literaturze naukowej wynosi 10%. Uwzględnienie stanowiłoby podejście konserwatywne i prowadziło by do zwiększenia populacji do (przy zmianie omawianej wartości, pozostałe parametry w modelu wnioskodawcy nie uległy zmianie):

- 17 pacjentów w okresie VII-XII. 2015 r
- 36 pacjentów w 2016 r
- 37 pacjentów w 2017 r

Gdyby wziąć pod uwagę zmianę obu wymienionych wyżej wartości otrzymamy populację wynoszącą:

- 27 pacjentów w okresie VII-XII. 2015 r
- 56 pacjentów w 2016 r
- 59 pacjentów w 2017 r

Stanowi to prawie potrojenie populacji przedstawionej przez wnioskodawcę w scenariuszu podstawowym.

Dodatkowo oszacowania populacji wykonane przez wnioskodawcę biorą jedynie pod uwagę zachorowalność, natomiast nie uwzględniają chorobowości. W przypadku tego nowotworu uwzględnienie chorobowości jest istotne z uwagi na fakt, że przeżycie dziesięcioletnie, w zależności od wieku pacjenta wynosi 50%-75%.

Natomiast według kryteriów kwalifikacji do proponowanego programu lekowego leczeniem objęci byłiby również chorzy, u których poprzednie leczenie okazało się nieskuteczne. Nie uwzględnienie chorobowości znacznie zaniża liczbę pacjentów u których wnioskowana technologia będzie stosowana w przypadku wydania pozytywnej decyzji refundacyjnej. Dostępne dane wskazują, że aktualnie ok. 20 000 osób żyje ze zdiagnozowanym rakiem tarczycy w Polsce. Przy założeniach:

- rak rdzeniasty stanowi 10% zdiagnozowanych raków tarczycy;
- 76,5% pacjentów posiada mutację RET;
- odsetek postaci nieoperacyjnej, miejscowo zaawansowanej lub obecność przerzutów odległych wynosi [redacted];
- [redacted] zdiagnozowanych pacjentów z nieoperacyjnym rakiem rdzeniastym spełnia kryteria włączenia do programu;

to populacja, która może spełniać kryteria kwalifikacji do proponowanego programu lekowego wynosi ok. 395 pacjentów. Wartość ta prawie dwudziestokrotnie przekracza, tą którą zaprezentował wnioskodawca.

W związku z powyżej wymienionymi niepewnościami co do oszacowań populacji, wyliczenia przedstawione przez wnioskodawcę mogą nie odzwierciedlać rzeczywistości, w której znajdzie się płatnik w przypadku objęcia refundacją wnioskowanej technologii.

Uwagi do proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka

Nie dotyczy

Uwagi do zapisów programu lekowego

Wśród kryteriów włączenia do programu wskazuje się, że leczeni będą pacjenci „z rozpoznaniem raka rdzeniastego tarczycy nieoperacyjnego, miejscowo zaawansowanego lub z obecnością przerzutów odległych jako leczenie I rzutu lub II rzutu u pacjentów opornych na inny inhibitor kinazy tyrozynowej”.

Omówienie rozwiązań proponowanych w analizie racjonalizacyjnej

Wnioskodawca w złożonym wniosku zaproponował rozwiązanie, które polegało na obniżeniu limitu finansowania obecnie stosowanych substancji i wprowadzeniu na rynek tańszych odpowiedników leków dla których aktualnie zbliża się termin wygaśnięcia ochrony patentowej. Kwota oszacowana przez wnioskodawcę przekroczyła wynik z analizy wpływu na budżet.

Omówienie rekomendacji wydawanych w innych krajach w odniesieniu do ocenianej technologii

Odnaleziono 7 rekomendacji klinicznych dotyczących leczenia raka rdzeniastego tarczycy: Spanish Society of Endocrinology oraz Spanish Task Force Group for Orphan and Infrequent Tumors (SEEN/GETHI) 2015, British Thyroid Association (BTA) 2014, Polskie Towarzystwo Onkologii Klinicznej 2013, National Comprehensive Cancer Network (NCCN) 2013, Alberta Health Services (AHS) 2012, European Thyroid Association (ETA) 2012, European Society for Medical Oncology (ESMO) 2012. Wszystkie oprócz AHS 2012 (data wydania pierwszego pozwolenia na dopuszczenie do obrotu Cometriq 21.03.2014 r.) wymieniają możliwość zastosowania wnioskowanej technologii.

Odnaleziono 3 rekomendacje refundacyjne: All Wales Medicines Strategy Group (AWMSG) 2014, Haute Autorité de Santé (HAS) 2014, Scottish Medicines Consortium (SMC) 2015. AWMSG 2014 oraz HAS 2014 pozytywnie odnosiły się do finansowania wnioskowanej technologii. Natomiast rekomendacja SMC 2015 była negatywna. Powołano się w niej na brak istotnej statystycznie różnicy w przeżyciu wolnym od progresji pomiędzy wnioskowaną technologią a placebo w grupie pacjentów bez mutacji RET. Dodatkowo wskazano, że wnioskodawca nie przedstawił wystarczająco wiarygodnej analizy ekonomicznej, która uzasadniałaby pozytywne stanowisko.

Według informacji przedstawionych przez wnioskodawcę produkt leczniczy Cometriq jest finansowany w 4 krajach UE i EFTA: Austria, Dania, Holandia, Niemcy, (na 31, dla których informacje przekazano). W każdym przypadku lek jest finansowany w 100%.

Podstawa przygotowania rekomendacji

Rekomendacja została przygotowana na podstawie zlecenia z dnia 27.03.2015 r. Ministra Zdrowia (znak pisma: PLA.4600.33.2015.6.JOS), odnośnie przygotowania rekomendacji Prezesa w sprawie objęcia refundacją i ustalenia ceny urzędowej produktu Cometriq, kabozantynib, kapsułki twarde, 20 mg +80 mg, 112 kapsulek (140 mg/dobę), kod EAN: 5909991185732, w ramach programu lekowego: „Leczenie raka rdzeniastego tarczycy kabozantynibem (ICD-10 C73)” na podstawie art. 35 ust 1. ustawy z dnia 12 maja 2011 roku o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2015 r. poz. 345), po uzyskaniu Stanowiska Rady Przejrzystości nr 88/2015 z dnia 8 czerwca 2015 r. w sprawie oceny leku Cometriq (kabozantynib), EAN: 5909991185732, w ramach programu lekowego „Leczenie raka rdzeniastego tarczycy kabozantynibem (ICD-10: C73)”

Piśmiennictwo

1. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 88/2015 z dnia 8 czerwca 2015 r. w sprawie oceny leku Cometriq (kabozantynib), EAN: 5909991185732, w ramach programu lekowego „Leczenie raka rdzeniastego tarczycy kabozantynibem (ICD-10: C73)”
2. Raport nr AOTMiT-OT-4351-14/2015. Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu leku Cometriq (kabozantynib) w ramach programu lekowego: „Leczenie raka rdzeniastego tarczycy kabozantynibem (ICD-10 C73)”. Analiza weryfikacyjna.
3. Rak tarczycy, dr n. med. Beata Piwońska-Solska, Katedra i Klinika Endokrynologii CMUJ, Kraków; <http://onkologia.mp.pl/chorobynowotworowe/80768,rak-tarczycy> (data dostępu 5.06.2015)
4. Krysiak R., Marek B., Okopień B., Rak rdzeniasty tarczycy — aktualny stan wiedzy. *Endokrynologia Polska* 2008. 59(5): 446–455
5. T. Deutschbein, A. Matuszczyk, L. C. Moeller, N. Unger, A. Yuce, H. Lahner, K. Mann, S. Petersenn. Treatment of Advanced Medullary Thyroid Carcinoma with a Combination of Cyclophosphamide, Vincristine, and Dacarbazine: a Single-Center Experience. *Exp Clin Endocrinol Diabetes* 2011; 119(9): 540-543.