



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 9/2020 z dnia 20 stycznia 2020 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Keytruda (pembrolizumab) we wskazaniu: rak urotelialny pęcherza moczowego w stadium uogólnienia (ICD-10: C67.9)

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Keytruda (pembrolizumab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, fiolka à 25 mg/ml, we wskazaniu: rak urotelialny pęcherza moczowego w stadium uogólnienia (ICD-10: C67.9).*

#### Uzasadnienie

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

*Rak przejściowonabłonkowy (urotelialny) jest nowotworem rozwijającym się najczęściej w dolnych drogach moczowych (pęcherzu moczowym lub cewce moczowej) lub górnych drogach moczowych (miedniczce nerkowej lub moczowodzie). Rak powierzchniowy po wstępnym leczeniu nawraca u 50 - 80% chorych, a następnie zmienia się w postać inwazyjną w ok. 10 - 25% przypadków. Odsetek 5-letnich przeżyć wynosi <50%.*

##### Skuteczność kliniczna i praktyczna

*W badaniu randomizowanym III fazy wykazano skuteczność pembrolizumabu, względem standardowej chemioterapii paklitakselem oraz docetakselem, wśród dorosłych pacjentów z zaawansowanym rakiem urotelialnym, z progresją lub nawrotem choroby po leczeniu chemioterapią opartą na związkach platyny. Stosowanie pembrolizumabu (PEM) wiązało się z istotnym statystycznie wydłużeniem przeżycia całkowitego. Wyniki najnowszej analizy cząstkowej wskazują na istotnie statystycznie wyższy odsetek pacjentów uzyskujących ogólną odpowiedź na leczenie, w tym także uzyskujących odpowiedź całkowitą. Stosowanie pembrolizumabu skutkowało utrzymaniem dotychczasowej jakości życia, podczas gdy w grupie chemioterapii obserwowano znaczące jej pogorszenie. Zgodnie z opinią eksperta klinicznego: „Leczenie pembrolizumabem u chorych na zaawansowanego raka urotelialnego,*



po wyczerpaniu dostępnych terapii z udziałem klasycznej chemioterapii, poprawia rokowanie co do czasu przeżycia oraz jakości życia”.

#### Bezpieczeństwo stosowania

Do zdarzeń niepożądanych wymienionych w ChPL Keytruda występujących bardzo często w monoterapii pembrolizumabem należą: niedokrwistość, niedoczynność tarczycy, zmniejszenie łaknienia, ból głowy, duszność, kaszel, biegunka, ból brzucha, nudności, wymioty, zaparcia, wysypka, świąd, bóle mięśniowo-szkieletowe, ból stawów, zmęczenie, astenia, obrzęk i gorączka.

#### Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Produkt leczniczy Keytruda jest zarejestrowany we wnioskowanym wskazaniu, co oznacza, że stosunek korzyści do ryzyka stosowania został przez EMA oceniony jako pozytywny.

#### Konkurencyjność cenowa

Wydatki płatnika publicznego na terapię lekiem Keytruda będą porównywalne lub wyższe od kosztów leczenia komparatorami.

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

Przy założeniu zakresu liczebności populacji docelowej wynoszącej 300 osób, wpływ na sumaryczne wydatki podmiotu zobowiązanego będzie stosunkowo duży.

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

Ewentualnym komparatorem dla pembrolizumabu w ocenianej sytuacji klinicznej mógłby być niwolumab (produkt leczniczy Opdivo) lub atezolizumab (produkt leczniczy Tecentriq).

#### **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 2019 r., poz. 1373 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, nr OT.422.117.2019, „Keytruda (pembrolizumab) we wskazaniu: rak urotelialiny pęcherza moczowego w stadium uogólnienia (ICD-10: C67.9), w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych.”, data ukończenia: 16 stycznia 2020 r..