



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 95/2020 z dnia 14 grudnia 2020 roku

w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku Vitrakvi (larotrekty nib) we wskazaniu: rak brodawkowaty tarczycy z obecnością genu fuzyjnego TPR-NTRK1 u pacjenta pediatrycznego po leczeniu operacyjnym (subtotalnej resekcji tarczycy) i leczeniu radioaktywnym jodem

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację leku Vitrakvi (larotrekty nib), roztwór doustny, fiołka á 100 ml, 20 mg/ml, we wskazaniu: rak brodawkowaty tarczycy z obecnością genu fuzyjnego TPR-NTRK1 u pacjenta pediatrycznego po leczeniu operacyjnym (subtotalnej resekcji tarczycy) i leczeniu radioaktywnym jodem.

Warunkiem wydawania zgód powinno być udokumentowane niepowodzenie zastosowanej terapii (to jest leczenia chirurgicznego i leczenia radioaktywnym jodem) i brak alternatywnych opcji leczenia.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Wniosek dotyczy pacjenta pediatrycznego po leczeniu operacyjnym (subtotalnej resekcji tarczycy) i leczeniu radioaktywnym jodem. Po leczeniu jodem nastąpiła progresja choroby.

Dowody naukowe

Nie odnaleziono badań, dotyczących omawianej sytuacji klinicznej, w których populację stanowili pacjenci pediatryczni z rakiem brodawkowatym tarczycy. W związku z tym odniesiono się do badań obejmujących populację szerszą, tj. pacjentów z guzami litymi z obecnością genu fuzyjnego TPR- NTRK1. W publikacji Laetsch 2018 odpowiedź na leczenie uzyskało 93% pacjentów pediatrycznych z nowotworami litymi z obecnością genu fuzyjnego TRK. Dwóch pacjentów z rakiem brodawkowatym tarczycy z obecnością genu fuzyjnego TRK nie miało mierzalnej choroby w momencie włączenia do badania, ale w dniu odciążenia danych nadal przyjmowało terapię bez progresji choroby (> 7 miesięcy). Zgodnie z raportem EMA z 2019 r. w podgrupie pediatrycznej z nowotworami litymi z obecnością genu fuzyjnego TRK, odpowiedź na leczenie uzyskało 81% pacjentów.



W publikacji Laetsch 2018 raportowano głównie zdarzenia niepożądane 1. lub 2. stopnia – u 88% pacjentów pediatrycznych. Najczęściej w ramach zdarzeń niepożądanych 1-2. stopnia raportowano podwyższony poziom AlAT i AspAT – u 42% dzieci, leukopenię, zmniejszoną liczbę neutrofilii oraz wymioty – każde raportowane u 21% dzieci. Raportowano dwa poważne zdarzenia niepożądane 3. stopnia związane z leczeniem: nudności oraz zmniejszoną frakcję wyrzutową serca. Nie obserwowano zdarzeń niepożądanych 4. stopnia związanych z leczeniem. Zgodnie z ChPL Vitrakvi należy stosować tylko, jeśli nie ma zadowalających opcji leczenia, dla których ustalono korzyści kliniczne lub gdy takie możliwości leczenia zostały wyczerpane (tj. brak zadowalających możliwości leczenia).

Problem ekonomiczny

Oszacowany na podstawie dostępnych danych oraz opisanych powyżej założeń, roczny koszt leczenia 1 pacjenta preparatem Vitrakvi wynosi 754 554,32 zł netto (814 918,71 zł brutto).

Główne argumenty decyzji

Zdaniem Rady, zgodnie z charakterystyką produktu leczniczego Vitrakvi, lek ten powinien być stosowany tylko, gdy nie ma zadowalających opcji leczenia, dla których ustalono korzyści kliniczne lub gdy takie możliwości leczenia zostały wyczerpane. Wątpliwości budzi też forma finansowania leczenia. Wniosek, zdaniem Rady, powinien dotyczyć RDTL.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust. 2 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2020 r., poz. 1398 późn. zm.) oraz w zw. z art. 39 ust. 3 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2020 r., poz. 357 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności wydawania zgody na refundację nr: OT.4311.25.2020 „Vitrakvi (larotrektylib) we wskazaniu: rak brodawkowaty tarczycy z obecnością genu fuzyjnego TPR-NTRK1 u pacjenta pediatrycznego po leczeniu operacyjnym (subtotalnej resekcji tarczycy) i leczeniu radioaktywnym jodem”. Data ukończenia: 9 grudnia 2020 r.