



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 40/2021 z dnia 8 marca 2021 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Perjeta (pertuzumab) we wskazaniu: rak jelita grubego z amplifikacją ERBB2 w stadium choroby rozsiaanej (ICD-10: C18)

*Rada Przejrzystości uważa za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Perjeta (pertuzumab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, fiolka á 420 mg, we wskazaniu: rak jelita grubego z amplifikacją ERBB2 w stadium choroby rozsiaanej (ICD-10: C18).*

#### Uzasadnienie

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

*Zlecenie dotyczy chorego z rakiem jelita grubego z amplifikacją ERBB2, w stadium choroby rozsiaanej, kwalifikowanego do terapii skojarzonej z trastuzumabem (na którą pacjent otrzymał zgodę), u którego wcześniej zastosowano m.in. następujące leczenie: hemikolektomię lewostronną, appendektomię; adiuwantową chemioterapię (schemat FOFOX4), Cetuximab + FOFIRI (6 serii). W kontrolnym badaniu tomografii komputerowej uwidoczono progresję choroby, której nie udało się zahamować poprzez zastosowanie III linii leczenia choroby rozsiaanej LONSURF.*

*Produkt leczniczy Perjeta (pertuzumab) jest aktualnie finansowany ze środków publicznych w ramach programu lekowego B.9 „Leczenie raka piersi (ICD-10 C50)”. W leczeniu systemowym pierwszej i dalszych linii u pacjentów z nowotworem jelita grubego nie jest finansowana ze środków publicznych żadna technologia lekowa celowana na receptor ludzkiego naskórkowego czynnika wzrostu (ang. human epidermal growth factor receptor 2, HER2).*

##### Skuteczność kliniczna i praktyczna

*Produkt leczniczy Perjeta jest wskazany do stosowania w skojarzeniu z trastuzumabem i docetakselem u dorosłych pacjentów chorych na HER2-dodatniego raka piersi, z przerzutami lub z nieresekcyjną wznową miejscową, którzy nie byli leczeni wcześniej za pomocą terapii przeciw-HER2 lub chemioterapii choroby przerzutowej.*



Dostępne dowody naukowe wskazują na możliwą częściową skuteczność wnioskowanej interwencji. W badaniu II fazy MyPathway oceniano wpływ terapii celowanych u pacjentów z zaawansowanymi opornymi na leczenie guzami litymi (guzy płuc, piersi, okrężnicy i inne) z obecnością zmian molekularnych: w receptorze-2 ludzkiego naskórkowego czynnika wzrostu (HER2), receptorze ludzkiego naskórkowego czynnika wzrostu (EGFR), homolog B1onkogenu wirusowego mięsaka mysiego V-raf (BRAF) lub inhibitorach szlaku Hedgehog. W subpopulacji z amplifikacją /nadekspresją HER2, w kohorcie z rakiem jelita grubego, 38% pacjentów uzyskało obiektywną odpowiedź na leczenie - częściową odpowiedź na leczenie (PR) stwierdzono u 38% pacjentów. U żadnego pacjenta nie stwierdzono jednak całkowitej odpowiedzi na leczenie (CR). Mediana czasu trwania odpowiedzi na leczenie (DOR) wyniosła 11 miesięcy (zakres: od <1 do ponad 16 mies.). W badaniu HERACLES-B oceniano skuteczność i bezpieczeństwo zastosowania pertuzumabu w skojarzeniu z trastuzumabem emtanzyny, u pacjentów z przerzutowym rakiem jelita grubego z amplifikacją HER2. W HERACLES-B obiektywną odpowiedź na leczenie (pierwszorzędowy punkt końcowy badania) stwierdzono u 9,7% pacjentów. Według autorów badania odsetek kontroli choroby po leczeniu pertuzumabem w skojarzeniu z trastuzumabem emtanzyny wyniósł łącznie 77,4%. Mediana czasu przeżycia bez progresji wyniosła 4,1 miesiąca.

#### Bezpieczeństwo stosowania

W badaniu MyPathway nie odnotowano żadnego przypadku śmiertelnego związanego z leczeniem. W trakcie badania zmarło 44% pacjentów, zgon nastąpił w wyniku progresji choroby u 22 (39%) pacjentów, a przyczyna była nieznana u trzech (5%) pacjentów. Podobnie w nadaniu HERACLES-B związane z leczeniem zdarzenia niepożądane 3. stopnia wystąpiły tylko u dwóch pacjentów. Nie zgłoszono żadnych zdarzeń stopnia 4. lub 5.

#### Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Wskazanie, którego dotyczy wniosek nie zawiera się we wskazaniu rejestracyjnym produktu leczniczego Perjeta (pertuzumab). Tym samym dla niniejszego wskazania EMA nie przeprowadziła oceny relacji korzyści do ryzyka.

#### Konkurencyjność cenowa

Według wniosku załączonego do zlecenia MZ, koszt 3 cykli terapii produktem leczniczym Perjeta (pertuzumab) wynosi: ████████ PLN brutto. Powyższe obliczenia nie uwzględniają kosztów zastosowania trastuzumabu.

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

Ze względu na brak danych, nie jest możliwe oszacowanie liczby pacjentów, u których można zastosować wnioskowaną technologię lekową w ramach RDTL.

*Brak jest danych dotyczących liczby pacjentów z rakiem jelita grubego z amplifikacją genu ERBB2, u których terapia pertuzumabem w skojarzeniu z trastuzumabem stanowiłaby IV linię leczenia.*

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

*W żadnej z odnalezionych wytycznych nie odniesiono się do terapii skojarzonej pertuzumabem z trastuzumabem u pacjentów z rakiem jelita grubego. Biorąc pod uwagę, że w populacji docelowej niniejszej analizy terapia skojarzona pertuzumabem z trastuzumabem stanowiłaby IV linię leczenia, a odnalezione wytyczne nie odnoszą się do postępowania po niepowodzeniu III linii leczenia można stwierdzić, że dla ocenianej technologii lekowej nie ma technologii alternatywnej.*

**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.412.9.2021 „Perjeta (pertuzumab) we wskazaniu: rak jelita grubego z amplifikacją ERBB2 w stadium choroby rozlanej (ICD-10: C18)”. Data ukończenia: 3 marca 2021 r.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

*Dane zakreślone kolorem czarnym stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców Roche Registration GmbH.*

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem Roche Registration GmbH 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:** Roche Registration GmbH.