

## EXPERTNÍ DOTAZOVÁNÍ: LP CAPRELSA (vandetanib)

Vážená paní doktorko, pane doktore,

cílem tohoto dotazníku je co nejlépe odhadnout náklady spojené s péčí o pacienty s agresivním a symptomatickým medulárním karcinomem štítné žlázy (MTC) s mutací RET (rearranged during transfection), kteří mají neresekovatelné lokálně pokročilé nebo metastazující onemocnění. Vaše odpovědi budou využity při tvorbě farmakoeconomických podkladů, které budou sloužit k potvrzení úhrady z veřejného zdravotního pojištění pro léčivý přípravek Caprelsa na Slovensku.

---

### Současné indikační omezení LP Caprelsa:

*Hradená liečba sa môže indikovať na liečbu agresívneho a symptomatického medulárneho karcinómu štítnej žľazy (MTC) u pacientov s neresekovateľným lokálne pokročilým alebo metastázujúcim ochorením. Liek je indikovaný dospelým, deťom a dospelievajúcim, vo veku od 5 rokov a starším. Hradená liečba podlieha predchádzajúcemu súhlasu zdravotnej poisťovne.*

Experti potvrdzujú znění indikační omezení v současné podobě.

### ČÁST A: KOMPARÁTOR – LÉČBA 1. LINIE

V rámci stanovení úhrady z veřejného zdravotního pojištění pro LP Caprelsa je třeba definovat srovnávanou terapii (tzv. komparátora), tj. takovou terapii, která i) se **běžně používá** v klinické praxi k léčbě daného onemocnění a zároveň ii) je **běžně hrazena či standardně hrazena/schvalována** z veřejného zdravotního pojištění (tj. trvalá úhrada, nikoliv úhrada skrze výjimky např. skrze §88 zákona 363/2011).

1. Jaké terapie jsou v praxi běžně používány k léčbě předmětného onemocnění v podmínkách Slovenska? Jak byste popsali běžnou terapeutickou péči o pacienta s předmětnou diagnózou? V rámci klinické studie ZETA<sup>1</sup> byl vandetanib srovnáván s placebem.
2. Jakým způsobem jsou tyto terapie dle Vašich zkušeností hrazeny (např. standardní úhrada z veřejného pojištění, paragraf 88, nemocniční paušál atp.)?

Komparovanou terapií, tj. tou, která je běžně používána a hrazené ve slovenské klinické praxi je nejlepší podpůrná péče (Best Supportive Care, BSC) a LP Cometriq (kabozantinib). Dle vyjádření expertů je BSC zastoupena cca u 10% pacientů. Zastoupení LP Cometriq a Caprelsa se liší dle osloveného pracoviště, ale platí, že výběr LP je individuální podle dalších komorbidit a onemocnění pacienta. Někteří pacienti jsou jen sledováni a léčba se zahajuje později, až pokud se zhoršuje stav (BSC). Vandetanib není obecně tolik toxický jako kabozantinib, takže není třeba redukce dávky. Zato 100% pacientů na Cometriqu nemá v čase léčby plnou dávku – dávka se z důvodu toxicity snižuje na cca průměrně 60%.

#### ČÁST B: ADMINISTRACE LP Caprelsa

3. Aby mohl být LP Caprelsa indikován, je třeba ověřit přítomnost mutace RET validovaným testem (viz SPC přípravku).  
*Jaké konkrétní testy těmto pacientům indikujete? Uveďte názvy a příslušné kódy vyšetření/výkonů.*

*Konkrétní výkony lze dohledat v Databázi jednotkových nákladov.*

4. Testujete na přítomnost mutace RET pouze pacienty, kterým je indikován LP Caprelsa? Nebo testy podstupují i další pacienti?

*Zkušenosti se v tomto ohledu liší. První expert uvedl, že je třeba prokázat mutaci RET pro indikaci LP Caprelsa, zatímco na pracovišti druhého osloveného experta se na mutaci RET se testují všichni pacienti (i kvůli rodinné anamnéze) bez ohledu na nasazenou léčbu.*

---

<sup>1</sup> Wells Jr, Samuel A., et al. "Vandetanib in patients with locally advanced or metastatic medullary thyroid cancer: a randomized, double-blind phase III trial." *Journal of clinical oncology* 30.2 (2012): 134.

**ČÁST C: NÁKLADY NA PÉČI O PACIENTA**

5. V této části naleznete otázky týkající se péče v oblastech monitorování onemocnění, poskytnuté běžné péče a paliativní péče. Do tabulek níže vyplňte názvy konkrétních vyšetření (případně odpovídající kódy, pokud víte) a také frekvenci těchto výkonů – na jednoho průměrného pacienta – podle terapie a časového období. Pokud se péče o pacienta neliší mezi terapiemi LP Caprelsa a BSC, uveďte.

Vyšetření/výkony	Název/kód vyšetření	Caprelsa		BSC	
		Frekvence na pacienta	Frekvence na pacienta	Frekvence na pacienta	Frekvence na pacienta
		1. rok	2. a další rok	1. rok	2. a další rok
EKG	EKG	7	3	0	0
Kontrola lékařem	Kontrola kardiologem	1,5	1,5	0	0
Laboratoř (biochemie)	Biochemie, krevní obraz, onkologické markery (Ca, kalcitonin)	10,5	10,5	3	3
Laboratoř (TSH)	TSH	7,5	6	3	3
Další (vyplňte):	Kontrola onkologem	12	12	3,5	3,5
	CT	3	3	2,75	2,75

**Paliativní péče:** Oslovení experti uvádějí, že je tato paliativní péče shodná pro všechny pacienty, nehledě na to, jakou léčbu dostávali v rámci první linie. Zároveň se tato paliativní léčba neliší od jiné, běžné paliativní péče.

## ČÁST D: DALŠÍ LINIE LÉČBY

6. Uveďte, zda pacienti v případě progresu a ukončení linie 1. léčby přecházejí na druhou a další linie léčby. Jaké jsou tyto konkrétní terapie druhé linie?

Po selhání první linie léčby je možné pacientům podávat chemoterapii, která by byla stejná pro obě ramena léčby.

Obecně v dalších liniích dostávají pacienti tu léčbu, kterou v 1L neměli, tj. Caprelsa → Cometriq (a naopak). Po vyčerpání těchto terapií je pak možné nějakou terapii zopakovat (stále je přítomen dobrý léčebný efekt.)

## ČÁST E: POČET PACIENTŮ VHODNÝCH K LÉČBĚ

7. Tabulka níže vychází z *Žiadosti o zaradenie lieku do zoznamu kategorizovaných liekov a úradné určenie ceny lieku*, kde byl prezentován odhad odborníků na Slovensku<sup>2</sup> (rok 2018-2021). Na základě těchto dat předpokládáme konstantní počet **10 nově léčených pacientů za jeden rok** (žlutě), kteří by byli potenciálně vhodní k léčbě LP Caprelsa. Souhlasíte s tímto odhadem?

Tabuľka 1: Odhad odborníkov k počtu vhodných pacientov na liečbu liekom Caprelsa

Rok	2018	2019	2020	2021	Každý další rok
<b>Pacienti vhodní na léčbu TKI (Caprelsa)</b>	5	6	7	8	10

Souhlasím: ANO x NE: **Dle oslovených expertů je maximální patientský potenciál 12 nových pacientů ročně.**

8. Ne každý vhodný pacient ale bude skutečně léčen právě LP Caprelsa. Jaké budou tržní podíly jednotlivých terapií? Zapište Vás odhad do tabulky níže.

Tabuľka 2: Odhad tržních podílů dostupných terapií

Tržní podíl terapií (%)	1. rok	2. rok	3. rok	4. rok	5. rok
<b>Caprelsa</b>	60%	60%	60%	60%	60%
<b>BSC</b>	10%	10%	10%	10%	10%
<b>Cometriq</b>	30%	30%	30%	30%	30%
Pacienti					
<b>Caprelsa</b>	7	7	7	7	7
<b>BSC</b>	1	1	1	1	1
<b>Cometriq</b>	4	4	4	4	4

<sup>2</sup> Podoba, J: Stanovisko k epidemiológii a liečbe medulárneho karcinómu štítnej žľazy, 2018, v rámci *Žiadost' o zaradenie lieku do zoznamu kategorizovaných liekov a úradné určenie ceny lieku* - Typ žiadosti A1N