



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 14/2022 z dnia 31 stycznia 2022 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną romiplostym w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego

*Rada Przejrzystości uważa za zasadną refundację leków zawierających substancję czynną romiplostym we wskazaniu pozarejestacyjnym: rozpoznanie przetrwałej rozumianej jako trwającej powyżej 6 miesięcy, pierwotnej małopłytkowości immunologicznej (ITP), w ramach proponowanego programu lekowego: B.98 „Leczenie pediatrycznych chorych na przewlekłą pierwotną małopłytkowość immunologiczną (ICD-10 D69.3)”.*

#### Uzasadnienie

*Romiplostym jest białkiem fuzyjnym aktywującym za pomocą receptora trombopoetyny wewnętrzkomórkowe szlaki transkrypcji, zwiększając w ten sposób wytwarzanie płytek krwi. Zarejestrowane wskazanie obejmuje terapię małopłytkowości o podłożu immunologicznym w populacji dorosłych i dzieci powyżej 1 roku życia.*

*Przedmiotem wniosku jest ocena zasadności zmian w programie B.98 „Leczenie pediatrycznych chorych na przewlekłą pierwotną małopłytkowość immunologiczną (ICD-10 D69.3)”. Zakres proponowanych zmian dotyczy wprowadzenia możliwości leczenia przetrwałej postaci pierwotnej małopłytkowości immunologicznej, tj. po 6 miesiącach trwania choroby.*

*W wyniku przeprowadzonego przeglądu systematycznego odnaleziono jeden przegląd systematyczny (Grainger2021), przedstawiający wyniki dotyczące omawianej populacji. Autorzy przeglądu podkreślają, że pomimo braku badań randomizowanych, dotyczących leczenia przetrwałej postaci ITP, stosowanie romiplostymu we wnioskowanym wskazaniu jest podobnie skuteczne jak w przypadku przewlekłej postaci ITP.*

*Zgodnie z wytycznymi klinicznymi (ICR19 2019, ASH z 2019, DGHO/ÖGHO/SGH/GPOH/DGTI 2018) TPO-RA stanowią rekomendowaną opcję terapeutyczną u pacjentów pediatrycznych z przetrwałą/przewlekłą ITP, którzy wykazują niedostateczną odpowiedź na wcześniejsze standardowe leczenie*



*farmakologiczne. Pozostałe opcje leczenia obejmują rytuksymab, splenektomię oraz leki immunosupresyjne.*

*Według opinii ekspertów klinicznych, w chwili obecnej romiplostymem leczonych jest ok. 10 pacjentów w ramach programu B.98. Zdaniem ekspertów, zmiana spowoduje przejściowy wzrost liczby pacjentów, jednakże docelowo całkowita liczba pacjentów leczonych romiplostymem po wprowadzeniu omawianej zmiany nie zmieni się.*

*Wprowadzenie zmian w zapisie programu będzie się wiązało z niewielkim wzrostem obciążeń dla płatnika.*

#### **Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 523), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 1285 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr: OT.4221.53.2021 „Rromiplostym stosowany w programie lekowym B.98 »Leczenie pediatrycznych chorych na przewlekłą pierwotną małopłytkowość immunologiczną (ICD-10 D69.3)«”. Data ukończenia: 26.01.2022 r.