



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 245/2014 z dnia 18 sierpnia 2014 r.
w sprawie oceny leku Nplate (romiplostym)

(kod EAN: 5909990766994) we wskazaniu: leczenie przewlekłej pierwotnej małopłytkowości immunologicznej u dorosłych chorych, u których wykonano splenektomię i którzy wykazują niewystarczającą odpowiedź na inne sposoby leczenia, w ramach programu lekowego:
„Leczenie pierwotnej małopłytkowości immunologicznej (ICD-10: D69.3)”

Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Nplate (romiplostym), proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 250 µg, 1 fiol. + 1 ampu.-strzyk. + 1 łącznik fiol. + 1 igła + 1 strzyk. + 4 gaziki nasączone alkoholem, EAN: 5909990766994, we wskazaniu: leczenie przewlekłej pierwotnej małopłytkowości immunologicznej u dorosłych chorych, u których wykonano splenektomię i którzy wykazują niewystarczającą odpowiedź na inne sposoby leczenia, w ramach programu lekowego: „Leczenie pierwotnej małopłytkowości immunologicznej (ICD-10: D69.3)”, w ramach nowej grupy limitowej i wydawanie go pacjentom bezpłatnie.

Rada proponuje wprowadzenie następujących uściśleń w programie lekowym: określenie progowej liczby płytek, świadczącej o nieskuteczności splenektomii, zawarcia informacji dotyczących stosowania leczenia w ciąży i podczas karmienia piersią, określenie sposobu stosowania leczenia u pacjentów z zaburzeniami funkcji nerek oraz u pacjentów powyżej 60 roku życia z objawami układowymi, jak również bardziej dokładne monitorowanie leczenia, np. monitorowanie funkcji wątroby. Równocześnie, w związku z niepewnością w zakresie obciążeń dla budżetu po wprowadzeniu finansowania wnioskowanej technologii, Rada proponuje zastosowanie mechanizmu, zabezpieczającego przed wzrostem wydatków, np. w postaci instrumentu podziału ryzyka.

Uzasadnienie

Wyniki niewielkiej liczby badań klinicznych z randomizacją wskazują, że stosowanie romiplostymu u dorosłych pacjentów z małopłytkowością pierwotną, u których wykonano splenektomię, i którzy wykazują niewystarczającą odpowiedź na inne sposoby leczenia, prowadzi do istotnej statystycznie poprawy w zakresie odpowiedzi płytkowej ogółem, długotrwałej



odpowiedzi płytkowej, przemijającej odpowiedzi płytkowej a także liczby tygodni z odpowiedzią płytkową. Analiza bezpieczeństwa stosowania romiplostymu wykazała podobny profil bezpieczeństwa w stosunku placebo. Romiplostym we wnioskowanym wskazaniu jest powszechnie stosowany w światowej praktyce klinicznej, co potwierdzają rekomendacje krajowych i międzynarodowych organizacji i towarzystw naukowych. Wprowadzenie terapii romiplostymem, będzie wiązało się z oszczędnościami dla płatnika publicznego, jednakże dodatkowa analiza wrażliwości, przeprowadzona przez AOTM, wskazuje na niepewność w tym zakresie, zwłaszcza przy stosowaniu wyższych dawek i zużywaniu większej liczby opakowań leku. W związku z tym, Rada proponuje wprowadzenie mechanizmu zabezpieczającego przed wzrostem wydatków budżetowych.

.....
Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości
prof. Michał Myśliwiec

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. 2011 r., Nr 122, poz. 696 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych nr AOTM-OT-4351-19/2014, „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu leku Nplate (romiplostym) w ramach programu lekowego: "Leczenie pierwotnej małopłytkowości immunologicznej (ICD-10: D69.3)"" Data ukończenia: 8 sierpnia 2014 r.