



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

**Opinia Rady Przejrzystości
nr 398/2017 z dnia 11 grudnia 2017 roku
w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych,
w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych,
leku Nplate (romiplostym) we wskazaniu:
pierwotna małopłytkowość immunologiczna (ICD10: D69.3)**

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Nplate (romiplostym), proszek do sporządzania roztworu do wstrzykiwań o 250 µg we wskazaniu: pierwotna małopłytkowość immunologiczna (ICD10: D69.3), u chorych po splenektomii lub u których splenektomii nie można wykonać.

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Pierwotna małopłytkowość immunologiczna jest nabytym schorzeniem immunologicznym, przebiegającym z izolowanym obniżeniem liczby płytek we krwi obwodowej manifestującym się głównie krwawieniami z błon śluzowych. Zachorowalność roczną w ogólnej populacji dorosłych w Polsce szacuje się na 3,5/100 000. Groźne dla życia krwawienia do ośrodkowego układu nerwowego i przewodu pokarmowego są dość rzadkie.

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Lek ten, będący agonistą receptora dla trombopoetyny (TRO_R), zwiększa wprawdzie liczbę płytek krwi i zmniejsza liczbę krwawień, w tym ciężkich krwawień, lecz nie przekłada się to na liczbę zgonów.

Bezpieczeństwo stosowania

W odległej obserwacji sięgającej 4 lat nie obserwowano znaczących działań niepożądanych związanych z samą terapią, ani z przebiegiem choroby podstawowej (Acta Haematol 2015;134:215–228).

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Jest akceptowalna.



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

Dodatkowe wydatki związane z refundacją agonistów TRO_R – romiplostynu i eltrombopagu, są w znacznej mierze równoważone oszczędnościami w zakresie finansowania mniej skutecznych immunoglobulin i rytuksymabu oraz kosztami leczenia ciężkich krwawień.

U większości chorych leku nie można odstawić, tak więc wydatki będą się kumulować. U chorych po splenektomii jest to terapia trzeciego rzutu i nie ma dla niej alternatywy.

Konkurencyjność cenowa oraz alternatywna technologia medyczna, w rozumieniu ustawy o świadczeniach, oraz jej efektywność kliniczna i bezpieczeństwo stosowania

Rada rekomendowała uprzednio finansowanie w ramach RDTL innego leku agonisty TRO_R eltrombopagu. Wskazania do stosowania obydwu leków i ich skuteczność wydaje się bardzo zbliżone. Wytyczne traktują oba leki jako równoważne. W ramach RDTL powinien być stosowany tańszy z obydwu leków.

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 2017 r., poz. 1938, z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, nr OT.422.13.2017 „Nplate (romiplostym) we wskazaniu: pierwotna małopłytkowość immunologiczna (ICD10: D69.3)”. Data ukończenia: 06.12.2017.