



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 51/2019 z dnia 24 czerwca 2019 roku
w sprawie oceny leku Revolade (eltrombopag)
w ramach programu lekowego „Leczenie dorosłych chorych
na ciężką anemię aplastyczną (ICD 10: D61)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktów leczniczych:

- *Revolade (eltrombopag), tabl. powlekane, 50 mg, 28 tabl., kod EAN: 5909990748235;*
- *Revolade (eltrombopag), tabl. powlekane, 25 mg, 28 tabl., kod EAN: 5909990748204,*

w ramach programu lekowego „Leczenie dorosłych chorych na ciężką anemię aplastyczną (ICD 10: D61)”, w ramach istniejącej grupy limitowej „1172.0, Eltrombopag” i wydawanie go pacjentom bezpłatnie, pod warunkiem przyjęcia instrumentu dzielenia ryzyka (RSS) opartego na ocenie skuteczności terapii w stosunku do przynajmniej dwóch linii komórkowych i zwrotu kosztów za okresy nieskutecznego leczenia.

Rada nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Anemia aplastyczna to niewydolność szpiku powstała w następstwie jego hipoplazji lub aplazji, prowadząca do pancytopenii. Zapadalność roczną szacuje się na 2-6 przypadków na 1 mln osób. Ponieważ jest to choroba autoimmunologiczna leczenie przyczynowe polega na leczeniu immunosupresyjnym z zastosowaniem globuliny antylimfocytowej (ALG) lub antytymocytowej (ATG), zwykle razem z cyklosporyną (CsA), zastosowaniu cyklofosfamidu w dużych dawkach, na podaniu androgenów oraz przeszczepianiu allogenicznych komórek macierzystych. Leczenie takie jest skuteczne u 2/3 chorych.

Dowody naukowe

Badanie NCT0092283, w którym wykazano hematologiczną odpowiedź na leczenie eltrombopagiem u ponad 40% badanych w okresie 12-16 tygodni.



Problem ekonomiczny

Terapia [REDAKTOWANE] Kwalifikować się do niej będzie [REDAKTOWANE] pacjentów rocznie. Z uwagi na powiększenie populacji leczonych chorych (aktualnie leczeni są chorzy z trombocytopenią) zasadne jest istotne obniżenie kosztów terapii tym lekiem.

Główne argumenty decyzji

- Zastosowanie eltrombopagu w anemii aplastycznej może stanowić dla wybranych chorych jedyną szansę na przezwycięzenie tej śmiertelnej choroby.
- Postępowanie to rekomendują międzynarodowe wytyczne naukowe.
- W schorzeniu tym dysponujemy bardzo dobrym miernikiem skuteczności leczenia w postaci badania morfologii krwi obwodowej, dzięki czemu, zastosowanie RSS opartego o odpowiedź kliniczną jest możliwe i szczególnie wskazane.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 784 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr: OT.4331.15.2019 „Wniosek o objęcie refundacją leków Revolade (eltrombopag) w ramach programu lekowego »Leczenie dorosłych chorych na ciężką anemię aplastyczną (ICD-10: D61)«”. Data ukończenia: 14.06.2019.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Novartis Poland Sp. z o.o.).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem (Novartis Poland Sp. z o.o.) 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: (Novartis Poland Sp. z o.o.).