



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 90/2019 z dnia 14 października 2019 roku  
w sprawie oceny leku Nplate (romiplostinum) w ramach programu  
lekowego „Leczenie dorosłych chorych na pierwotną małopłytkowość  
immunologiczną (ICD-10 D69.3)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktów  
lecniczych:

- *Nplate (romiplostinum), proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 250 µg, 1 fiol. proszku + zestaw do rozpuszczenia leku, kod EAN 5909990766994,*
- *Nplate (romiplostinum), proszek do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 125 µg, 1 fiol. proszku, kod EAN 8715131018139,*

w ramach programu lekowego „Leczenie dorosłych chorych na pierwotną małopłytkowość immunologiczną (ICD-10 D69.3)”, w ramach nowej grupy limitowej i wydawanie ich bezpłatnie, pod warunkiem aby koszt jego stosowania nie był wyższy od kosztów stosowania eltrombopagu.

Rada Przejrzystości uważa [redacted]  
[redacted] biorąc pod uwagę wielkość populacji leczonej.

Rada nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego.

### Uzasadnienie

#### Problem decyzyjny

*Pierwotna małopłytkowość immunologiczna charakteryzuje się nawracającymi krwotokami, które znacznie obniżają jakość życia, a zlokalizowane w OUN i przewodzie pokarmowym grożą śmiercią. Romiplostin stymuluje trombocytopoezę i jest stosowany po wyczerpaniu innych form terapii, głównie splenektomii i glikokortykosteroidów oraz eltrombopagu.*

#### Dowody naukowe

*Wprawdzie brak jest badań dotyczących śmiertelności, ale dowody naukowe średniej jakości wskazują na korzystny wpływ romiplostynu na liczbę płytek i zmniejszenie częstości krwawień.*



### Problem ekonomiczny

Terapia romiplostynem [redacted] u pacjentów po splenektomii, natomiast [redacted], zarówno w populacji po splenektomii jak też w populacji wcześniej leczonej eltrombopagiem. Korzyści z leczenia romiplostynem, z uwagi na zmniejszenie częstości krwawień i konieczności przetaczania preparatów krwiopochodnych, mogą równoważyć koszty samej terapii.

### Główne argumenty decyzji

- Duża skuteczność terapii w „niezaspokojonej potrzebie medycznej”.
- Lek rekomendowany we wszystkich wytycznych.

### **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.4331.21.2019 „Wniosek o objęcie refundacją leku Nplate (romiplostym) w ramach programu lekowego: «Leczenie dorosłych chorych na pierwotną małopłytkowość immunologiczną (ICD-10 D69.3)»”. Data ukończenia: 4 października 2019 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia eksperta przedstawiona w trakcie posiedzenia.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

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

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem Amgen 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:** Amgen Sp. z o.o.