



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 89/2019 z dnia 14 października 2019 roku

w sprawie oceny leku Nplate (romiplostinum) w ramach programu lekowego „Leczenie pediatrycznych chorych na przewlekłą pierwotną małopłytkowość immunologiczną (ICD-10 D69.3)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktów leczniczych:

- *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 pediatrycznych chorych na przewlekłą pierwotną małopłytkowość immunologiczną (ICD-10 D69.3)”, w ramach nowej grupy limitowej i wydawanie ich bezpłatnie, pod warunkiem aby koszt terapii romiplostysem nie był wyższy od kosztu terapii eltrombopagiem.

Rada Przejrzystości uważa

Rada Przejrzystości nie zgłasza uwag do programu lekowego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Pierwotna małopłytkowość immunologiczna jest rzadką chorobą występującą również w populacji pediatrycznej. Nawracające krwotoki znacznie obniżają jakość życia. Romiplostyn, podobnie jak eltrombopag, stymuluje trombocytopoezę i jest stosowany po wyczerpaniu innych form terapii, głównie splenektomii i glikokortykosteroidów. Splenektomii nie powinno się wykonywać u dzieci. Romiplostyn jest rozpatrywany jedynie jako ostatnia opcja leczenia, w przypadku oporności na inne terapie u chorych, u których krwawienia są częste.



Dowody naukowe

Skuteczność terapii nie budzi wątpliwości, gdyż opiera się na przekonujących badaniach randomizowanych i przeglądzie systematycznym z metaanalizą.

Problem ekonomiczny

Wiarygodność przedstawionej analizy ekonomicznej jest ograniczona. Jednak oczekiwany wpływ na budżet płatnika nie będzie zbyt duży.

Główne argumenty decyzji

- *Duża skuteczność terapii w „niezaspokojonej potrzebie medycznej”.*
- *Lek rekomendowany jest we wszystkich wytycznych jako lek ostatniej szansy.*
- *Funkcjonuje już program lekowy z podobnie skutecznym eltrombopagiem.*

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.4331.22.2019 „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu produktu leczniczego Nplate (romiplostim) w ramach programu lekowego: «Leczenie pediatrycznych chorych na przewlekłą pierwotną małopłytkowość immunologiczną (ICD-10 D69.3)»”. Data ukończenia: 03.10.2019 r.

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.