



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

**Opinia Rady Przejrzystości
nr 159/2021 z dnia 2 listopada 2021 roku
w sprawie refundacji leków zawierających substancję czynną
romiplostym w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania,
lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce
Produktu Leczniczego**

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną romiplostym, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj. w ramach proponowanego programu lekowego B.98 „Leczenie pediatrycznych chorych na przewlekłą pierwotną małopłytkowość immunologiczną (ICD-10 D69.3)”, w zakresie dawkowania innego niż określonego w Charakterystyce Produktu Leczniczego.

Uzasadnienie

Minister Zdrowia przekazał Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT) zlecenie dotyczące przygotowania opinii Rady Przejrzystości w sprawie: substancji czynnej romiplostym, stosowanej w proponowanym programie lekowym, w zakresie modyfikacji dawkowania.

Proponowana jest zmiana zapisu z „2. Dawkowanie romiplostymu 3) następnie dawkę leku ustala się indywidualnie w zależności od liczby płytek krwi pacjenta oraz zmiany masy ciała - zgodnie z aktualną na dzień wydania decyzji Charakterystyką Produktu Leczniczego. Celem modyfikacji dawek jest osiągnięcie minimalnej dawki pozwalające utrzymać liczbę płytek ≥ 50 tys/ μ l” na „2. Dawkowanie romiplostymu 3) następnie dawkę leku ustala się indywidualnie w zależności od liczby płytek krwi pacjenta oraz zmiany masy ciała domaksymalnie 10 μ g/kg mc./dawkę. Celem modyfikacji dawek jest osiągnięcie minimalnej dawki pozwalające utrzymać liczbę płytek ≥ 50 tys/ μ l”.

Proponowane zmiany mają na celu wprowadzenie możliwości elastycznego dostosowania dawki leków w oparciu o próg związany z liczbą płytek krwi u pacjentów pediatrycznych. Należy zakładać, że zmiana dotyczy przede wszystkim tych pacjentów, u których nie udaje się uzyskać adekwatnej odpowiedzi płytkowej przy pomocy standardowych dawek leków, z możliwością wykroczenia poza zakres dawkowania określonego w ChPL.



Eksperci kliniczni poproszeni o opinię popierają wnioskowane zmiany argumentując, że modyfikacja programu umożliwi zindywidualizowane dawkowanie leków w przypadku zbyt słabej odpowiedzi klinicznej.

Aktualne wytyczne kliniczne dotyczące leczenia małopłytkowości idiopatycznej wskazują na zasadność stosowania agonistów receptora dla trombopetyny, tj. romiplostymu i eltrombopagu, a rekomendowane dawki są zgodne z zapisami ChPL. Należy zwrócić uwagę, że dawkowanie w zależności od odpowiedzi płytkowej jest standardowym dawkowaniem zarówno w populacji pacjentów dorosłych, jak i pediatrycznych. Dodatkowo zapisy ChPL wskazują na maksymalne dawki, dla których należy oczekiwać pożądanego efektu klinicznego.

Biorąc pod uwagę, że zapisy ChPL dla romiplostymu są odzwierciedleniem aktualnych danych, dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa, jak również optymalnego dawkowania, proponowane zmiany wydają się niezasadne. Niemniej, w związku z faktem, że konieczne jest stosowanie leków zgodnie z aktualnymi zapisami ChPL, Rada proponuje usunięcie w dotychczasowym zapisie programu lekowego frazy „...zgodnie z aktualną na dzień wydania decyzji...”. Pozwoli to na stosowanie leku zgodnie z najbardziej aktualnymi zapisami ChPL.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 523), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 1285 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr: OT.4221.47.2021 „Eltrombopag i romiplostym stosowane w programie lekowym B.98 »Leczenie pediatrycznych chorych na przewlekłą pierwotną małopłytkowość immunologiczną (ICD-10 D69.3)«”. Data ukończenia: 28.10.2021 r.