



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 55/2022 z dnia 13 czerwca 2022 roku

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

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktów leczniczych:

- *Nplate (romiplostim), proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 250 mcg, 1, fiol. proszku + zestaw do rozpuszczenia leku, kod GTIN: 05909990766994;*
- *Nplate (romiplostim), proszek do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 125 mcg, 1, fiol. proszku, kod GTIN: 08715131018139;*

w ramach programu lekowego B.97 „Leczenie dorosłych chorych na pierwotną małopłytkowość immunologiczną (ICD-10: D69.3)”, w ramach istniejącej grupy limitowej [1206.0 Romiplostym] i wydawanie ich bezpłatnie.

Rada Przejrzystości nie zgłasza uwag do propozycji instrumentu dzielenia ryzyka.

Rada uważa za zasadne rozważenie ujednoczenia wskazań dla eltrombopagu i romiplostymu oraz uzupełnienie kryteriów włączenia do programu dla chorych bez splenektomii, o progowe poziomy płytek krwi.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

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. W pierwszej linii leczenia stosowane są kortykosteroidy i immunoglobuliny, a u wybranych chorych splenektomia, zgodnie z wytycznymi stosowana w dalszych liniach leczenia. W kolejnych liniach leczenia stosowani są agoniści receptora dla trombopoetyny. Leczenie to jest już dostępne w Polsce w programie lekowym B.97. „Leczenie dorosłych chorych na pierwotną małopłytkowość immunologiczną (ICD-10 D69.3)”, u pacjentów z przeciwwskazaniami do wykonania splenektomii dostępna jest terapia eltrombopagiem (Revolade), natomiast w przypadku pacjentów



z nieskuteczną splenektomią dostępne są terapie eltrombopagiem (Revolade) lub romiplostymem (Nplate). Aktualna propozycja rozszerza wskazania do stosowania romiplostymu.

Dowody naukowe

Analiza kliniczna opiera się głównie na dwóch randomizowanych badaniach klinicznych z grupą kontrolną, porównujących przyjmowanie romiplostymu z terapią standardową (SOC) lub z placebo (Kuter 2008a i Kuter 2010).

W badaniu randomizowanym Kuter 2008a odnotowano istotne statystycznie zwiększenie prawdopodobieństwa uzyskania ogólnej odpowiedzi na leczenie, w tym także trwałej odpowiedzi na leczenie przy stosowaniu ROM w porównaniu z PLC w populacji pacjentów z ITP z zachowaną śledzioną (88% vs 14%; RR=6,15 (95%CI: 2,14; 17,63); $p < 0,0001$). Nie odnaleziono danych dotyczących bezpośredniego porównania romiplostymu do eltrombopagu w ocenianej populacji.

Problem ekonomiczny



Główne argumenty decyzji

- Skuteczność,
- [redacted]
- Stworzenie konkurencji cenowej pomiędzy agonistami trombopoetyny.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2022 r., poz. 463), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 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 analizy weryfikacyjnej nr: OT.4231.14.2022 „Wniosek o objęcie refundacją leku Nplate (romiplostym) w ramach programu lekowego: »Leczenie dorosłych chorych na pierwotną małopłytkowość immunologiczną (ICD-10:D 69.3)«”. Data ukończenia: 2 czerwca 2022 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.