



Opinia Rady Przejrzystości
nr 36/2023 z dnia 20 marca 2023 roku
w sprawie zasadności wprowadzenia kompleksowej zmiany
polegającej na utworzeniu nowej treści programu lekowego
B.97. „Leczenie dorosłych chorych na pierwotną małopłytkowość
immunologiczną (ICD-10: D69.3)”

Rada Przejrzystości uważa za zasadne wprowadzenie kompleksowej zmiany polegającej na utworzeniu nowej treści programu lekowego B.97 „Leczenie dorosłych chorych na pierwotną małopłytkowość immunologiczną (ICD-10: D69.3)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Pierwotna małopłytkowość immunologiczna jest nabytą chorobą autoimmunologiczną, charakteryzującą się izolowaną małopłytkowością ($PLT < 100 \text{ tys./}\mu\text{L}$), bez zdefiniowanych czynników wywołujących małopłytkowość i/lub zaburzeń przebiegających z małopłytkowością. Zachorowalność roczną w ogólnej populacji dorosłych szacuje się na 3/100 tys., a chorobowość na 8-10/100 tys. Średni wiek zachorowania przypada na 5. dekadę życia.

Propozycja zmian w Programie będąca przedmiotem oceny obejmuje:

- doprecyzowania w kryteriach kwalifikacji sformułowania niedostatecznej odpowiedzi na co najmniej jedną wcześniejszą terapię farmakologiczną, w tym brak odpowiedzi na kortykosteroidy lub stwierdzenie steroidozależności lub nietolerancji kortykosteroidów,*
- usunięcia z kryteriów kwalifikacji istnienia przeciwwskazań do wykonania splenektomii albo nieskuteczności splenektomii w przypadku kwalifikacji do leczenia eltrombopagiem lub awatrombopagiem,*
- usunięcia z kryteriów kwalifikacji warunku nieskuteczności splenektomii w przypadku kwalifikacji do leczenia romiplostymem,*
- dodanie możliwości zmiany leku w ramach programu lekowego w przypadku braku odpowiedzi na leczenie,*
- dodanie możliwości wydania pacjentowi do samodzielnego podania na okres maksymalnie 3 miesięcy romiplostymu, po wyrażeniu zgody przez lekarza,*

- przy dawkowaniu awatrombopagu – dodanie zapisu informującego o dawkowaniu zgodnie z aktualną na dzień wydania decyzji Charakterystyką Produktu Leczniczego;
- przy monitorowaniu leczenia – zmiany częstości wykonywania badania okulistycznego z 1 raz na 3 miesiące na 1 raz na 12 miesięcy (dotyczy leczenia eltrombopagiem).

Wytyczne kliniczne

W leczeniu II linii pierwotnej małopłytkowości immunologicznej (ITP) wytyczne wskazują wśród dostępnych opcji na agonistów receptora trombopoetyny TPO-RA (ASH 2019, BHS 2021, wytyczne międzynarodowego panelu ekspertów z 2019 r., DGHO/ÖGHO/SGH/GPOH/DGTI 2018), splenektomię (ASH 2019, BHS 2021) i rytuksymab (ASH 2019, BHS 2021, wytyczne międzynarodowego panelu ekspertów z 2019 r.). W zaleceniach BHS 2021 zaznaczono, że splenektomia jest wskazana tylko u pacjentów z dużą skłonnością do krwawień.

Konsensus ekspertów z Europy z 2023 r. wskazuje TPO-RA jako preferowane leczenie drugiego rzutu u pacjentów z przewlekłą ITP, którzy są oporni na poprzednie leczenie takie jak kortykosteroidy lub immunoglobuliny. DGHO/ÖGHO/SGH/GPOH/DGTI z 2018 r. u pacjentów bez lub z minimalnym krwawieniem (WHO 0-I) zaleca leczenie II linii po niepowodzeniu wcześniejszej terapii linii I.

Wytyczne ASH 2019, BHS 2021, oraz DGHO/ÖGHO/SGH/GPOH/DGTI z 2018 r. zalecają opóźnienie splenektomii o co najmniej 1 rok od diagnozy pierwotnej małopłytkowości immunologicznej ze względu na możliwość samoistnej remisji choroby w ciągu pierwszego roku (międzynarodowy panel ekspertów z 2019 r. zaleca odczekać od 12 do 24 miesięcy po diagnozie). ASH 2019 i konsensus ekspertów europejskich z 2023 r. zwracają także uwagę na potrzebę indywidualnego wyboru drugiej linii leczenia z uwzględnieniem preferencji pacjenta.

Zgodnie z zaleceniami ekspertów z Europy Środkowej z 2023 r, BHS 2021 i wytycznymi międzynarodowego panelu ekspertów z 2019 r. zaleca się rozważenie zmiany TPO-RA, jeśli pacjent z przewlekłą ITP nie odpowiada na leczenie. Wytyczne międzynarodowego panelu ekspertów z 2019 r. wskazują, że zmiana leczenia na inny TPO-RA oraz leczenie sekwencyjne wpływa pozytywnie na uzyskaną odpowiedź na leczenie i bezpieczeństwo terapii.

W rekomendacjach BHS 2021 odniesiono się do możliwości samodzielnego podawania romiplostymu, wytyczne wskazały, że może być to rozważone.

W odniesieniu do częstości wykonywania badania okulistycznego podczas leczenia eltrombopagiem, w zaleceniach międzynarodowego panelu ekspertów z 2019 r. wskazano, że ostatnie badania nie wykazały znaczącego wzrostu częstości występowania zaćmy przy leczeniu eltrombopagiem. BHS 2021 zaleca

wykonanie badania okulistycznego u pacjentów z jednym lub kilkoma czynnikami ryzyka (podeszły wiek, stosowanie sterydów, palenie tytoniu) leczonych eltrombopagiem lub romiplostymem. DGHO/ÖGHO/SGH/GPOH/DGTI z 2018 r. zalecają kontrolę okulistyczną u leczonych eltrombopagiem.

Wpływ na wydatki płatnika publicznego

Wg NFZ liczba dorosłych pacjentów leczonych w ramach programu lekowego B.97. wynosiła w 2022 roku 198 pacjentów (dane za I półrocze). Program lekowy B.97 został rozszerzony o awatrombopag w 2023 r., zatem prawdopodobnie liczba pacjentów włączanych do leczenia nadal będzie wzrastać, ponadto rozłoży się na trzy substancje dostępne w PL. Wydatki płatnika publicznego na realizację programu lekowego B.97 wyniosły w 2021 roku 7,12 mln PLN i wzrosły względem 2020 r. o ok. 1,94 mln PLN.

Biorąc pod uwagę aktualną liczbę leczonych pacjentów w ramach PL (198 pacjentów) oraz pacjentów leczonych w ramach RDTL (20 pacjentów) oszacowano, iż obecna liczba pacjentów leczonych agonistami receptora trombopoetyny (TPO-RA) wynosi 218 pacjentów.

Proponowana zmiana modyfikuje kryteria kwalifikacji do programu, w związku z czym liczebność populacji włączanej do programu najprawdopodobniej będzie się zwiększać. Wg ekspertów, proponowane zmiany w programie lekowym B.97 spowodują prawdopodobny wzrost populacji pacjentów objętych programem o dodatkowo około 109–150 pacjentów. Wówczas liczba pacjentów kwalifikujących się obecnie do leczenia wzrosłaby do około 348 pacjentów (średnia liczba pacjentów na podstawie 2 opinii eksperckich). Po wprowadzeniu proponowanych zmian i zwiększeniu populacji o około 130 pacjentów (wzrost o ok. 60% względem obecnej liczby pacjentów w PL) miesięczne koszty programu lekowego B.97 [REDACTED]

w wariancie podstawowym/maksymalnym oszacowań.

Główne argumenty decyzji

1. Proponowane zmiany w programie są zgodne z rekomendacjami klinicznymi towarzystw hematologicznych oraz grup eksperckich europejskich i amerykańskich.
2. Zmodyfikowane kryteria włączenia do PL przekładają się na korzyść dla pacjenta, gdyż umożliwią dostęp do najbardziej skutecznej terapii dla chorych z ITP po niepowodzeniu leczenia kortykosteroidami.
3. Zmniejszenie częstości wykonywania badania okulistycznego podczas leczenia eltrombopagiem jest zasadne z punktu widzenia organizacyjnego i nie stanowi zagrożenia dla pacjentów.

4. Proponowane zmiany w PL [REDACTED], jednak standard leczenia ITP będzie zgodny z obowiązującymi wytycznymi, a pacjenci w mniejszej skali będą poddawani terapiom obciążonym toksycznością, ryzykiem odległych powikłań i zbyt mało skutecznym (splenektomia, długotrwałe stosowanie kortykosteroidów).

Uwagi

Odnosząc się do wskaźników efektywności terapii, jakie mogłyby zostać zastosowane w przypadku przedmiotowych terapii w części „monitorowanie programu lekowego”, Rada proponuje uwzględnić liczbę płytek i krwawienia, wg terminologii zaproponowanej przez Międzynarodową Grupę Roboczą (Blood, 2009, 113, 2386-2393).

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt 4 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2022 r., poz. 2561 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania nr: OT.422.0.1.2023 „Opracowanie dotyczące oceny zasadności wprowadzenia kompleksowej zmiany polegającej na utworzeniu nowej treści programu lekowego B.97. »Leczenie dorosłych chorych na pierwotną małopłytkowość immunologiczną (ICD-10: D69.3)«”; data ukończenia 16 marca 2023 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców (Amgen, Novartis Poland sp. z o.o. i Swedish Orphan Biovitrum AB (publ)).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem (Amgen, Novartis Poland sp. z o.o. i Swedish Orphan Biovitrum AB (publ)) 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 2022 r., poz. 902) w zw. z art. 11 ust. 2 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2022 r., poz. 1233).

Organ dokonujący wyłączenia jawności: Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji.

Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Amgen, Novartis Poland sp. z o.o. i Swedish Orphan Biovitrum AB (publ)