



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 35/2014 z dnia 27 stycznia 2014 r.
w sprawie usunięcia świadczenia obejmującego podawanie
romiplostymu w rozpoznaniu zakwalifikowanym do kodu ICD-10
C91.1 realizowanego w ramach „Programu leczenia w ramach
świadczenia chemioterapii niestandardowej”

Rada Przejrzystości uważa za zasadne usunięcie świadczenia obejmującego podawanie romiplostymu w rozpoznaniu zakwalifikowanym do kodu ICD-10 C91.1 realizowanego w ramach „Programu leczenia w ramach świadczenia chemioterapii niestandardowej”.

Finansowanie leku może być rozważone przy małopłytkowości wikłającej przewlekłą białaczkę.

Uzasadnienie

Romiplostym jest drogim, ale obecnie bardzo rzadko stosowanym lekiem (w Polsce jest to kilka osób rocznie), gdyż praktyka kliniczna, rekomendacje kliniczne i dostępne dowody naukowe uzasadniają podawanie go nielicznym pacjentom z przewlekłą białaczką limfatyczną powikłaną małopłytkowością. Głównym wskazaniem jest stosowanie leku u dorosłych pacjentów z przewlekłą pierwotną małopłytkowością immunologiczną (idiopatyczną), u których wykonano splenektomię, i którzy wykazują niedostateczną odpowiedź na inne sposoby leczenia (np. terapia kortykosteroidami, immunoglobulinami).

Przedmiot wniosku

Zlecenie dotyczy przygotowania rekomendacji Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych w sprawie usunięcia z wykazu świadczeń gwarantowanych świadczenia opieki zdrowotnej, realizowanych w ramach programu chemioterapii niestandardowej: romiplostym rozpoznaniu zakwalifikowanym do kodu: przewlekła białaczka limfoblastyczna (ICD-10: C91.1).

Problem zdrowotny

Przewlekła białaczka limfocytowa (CLL, ang. chronic lymphocytic leukemia; ICD-10: C91.1) jest chorobą nowotworową, w przebiegu której dochodzi do zahamowania apoptozy limfocytów B, co w rezultacie prowadzi do ich akumulacji z naciekaniem szpiku kostnego, węzłów chłonnych, śledziony oraz rzadziej innych narządów.

Opis wnioskowanej technologii medycznej

Romiplostym (Nplate) jest białkiem fuzyjnym (przeciwciałem) złożonym z peptydu przyłączonego do fragmentu Fc, które sygnalizuje i aktywuje za pomocą receptora trombopoetyny (znanego również jako cMpl) wewnątrzkomórkowe szlaki transkrypcji, zwiększając w ten sposób wytwarzanie płytek krwi. Cząsteczka przeciwciała składa się z domeny Fc ludzkiej immunoglobuliny klasy IgG1, której



jednołańcuchowe podjednostki przyłączone są za pomocą wiązania kowalencyjnego do końca C łańcucha peptydowego, zawierającego 2 domeny wiążące receptory trombopoetyny.

Sekwencja aminokwasowa romiplostymu nie jest homologiczna z sekwencją endogennej trombopoetyny. W badaniach przedklinicznych i klinicznych przeciwciała skierowane przeciwko romiplostymowi nie reagowały krzyżowo z endogenną trombopoetyną. Nplate wskazany jest do stosowania u dorosłych pacjentów z przewlekłą pierwotną małopłytkowością immunologiczną (idiopatyczną), u których wykonano splenektomię, i którzy wykazują niedostateczną odpowiedź na inne sposoby leczenia (np. terapia kortykosteroidami, immunoglobulinami).

Romiplostym można zastosować jako leczenie drugiego rzutu u dorosłych pacjentów, u których nie wykonano splenektomii, gdyż operacja ta jest u nich przeciwwskazana.

Alternatywne technologie medyczne

Na podstawie opisanych metod leczenia oraz opinii ekspertów klinicznych można stwierdzić, że dla romiplostymu nie istnieje technologia alternatywna, gdyż jest on opcją leczenia dla niewielkiej grupy osób, u których wyczerpano inne opcje terapeutyczne, zatem w praktyce klinicznej brak leczenia romiplostymem oznaczałoby brak aktywnego leczenia lub przewlekłą terapię kortykosteroidami.

Skuteczność kliniczna, praktyczna i bezpieczeństwo stosowania

W 4 opisanych publikacjach przedstawiono 5 opisów przypadków osób z CLL i współistniejącą trombocytopenią. Zanotowano poprawę stanu klinicznego po zastosowaniu romiplostymu

w 3 przypadkach chorych na CLL, w szczególności w zakresie:

- podwyższenia miana płytek krwi (Pascual 2010, Sinisalo 2010, D'Arena 2011),
- zmniejszenia liczby krwotoków (Pascual 2010, D'Arena 2011).

Podawanie romiplostymu u osób z CLL i współistniejącą trombocytopenią przyczyniło się do podwyższenia miana płytek krwi i umożliwiło przeprowadzenia zabiegu chirurgicznego (splenektomia).

U jednej osoby z CLL za przyczynę trombocytopenii uznano ubytki zębów, stąd niemożność wnioskowania o skuteczności romiplostymu w CLL.

W przypadku 1 osoby – pacjenta z ograniczonymi rezerwami szpiku kostnego (po przeszczepie), nie wykazano poprawy po podaniu romiplostymu - utrzymywała się uporczywa trombocytopenia.

Stosowanie leku Nplate (romiplostym) w opisanych przypadkach CLL ze współistniejącą trombocytopenią było dobrze tolerowane, jedynym odnotowanym przypadkiem działania niepożądanego w trakcie terapii romiplostymem była trombocytoza (jest to działanie niepożądane wymienione w ChPL jako niezbyt często występujące tj. z częstością $\geq 1/1000$ do $< 1/100$).

Wpływ na budżet płatnika publicznego

Wg danych przekazanych przez NFZ:

- w 2012 r. wystąpiono z 2 wnioskami o refundację romiplostymu (liczba zgód: 1) na łączną wartość 1 165 941 zł;
- w 2013 r. wystąpiono z 1 wnioskiem o refundację romiplostymu (liczba zgód: 1) na łączną wartość 604 462 zł.

Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej

Nie odnaleziono żadnych rekomendacji klinicznych odnoszących się do stosowania romiplostymu w przewlekłej białaczce szpikowej.

Odnaleziono 4 pozytywne rekomendacje finansowe opowiadające się za finansowaniem produktu leczniczego Nplate (romiplostym) we wskazaniach zgodnych z ChPL. Nie odnaleziono pozytywnych rekomendacji finansowych opowiadających się za finansowaniem romiplostymu w przedmiotowym wskazaniu.

Dodatkowe uwagi Rady

Brak uwag.

Biorąc pod uwagę powyższe argumenty, Rada Przejrzystości przyjęła stanowisko jak na wstępie.

.....
Przewodniczący Rady Przejrzystości
prof. Tomasz Pasierski

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31 e ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2008 r. Nr 164, poz.1027 z późn .zm.), z uwzględnieniem raportu Program leczenia w ramach świadczenia chemioterapii niestandardowej - romiplostym w rozpoznaniach zakwalifikowanych do kodu ICD-10: C91.1 Raport skrócony ws. usunięcia świadczenia gwarantowanego realizowanego w ramach programu chemioterapii niestandardowej, AOTM-DS-431-30/2013, 20 styczeń 2014 r.

Inne wykorzystane źródła danych, oprócz wskazanych w ww. raporcie:

1. Nie dotyczy.