

## **Rekomendacja nr 13/2010**

**Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych  
z dnia 15 marca 2010r.**

**w sprawie kwalifikacji świadczenia opieki zdrowotnej  
„leczenie samoistnej plamicy małopłytkowej przy wykorzystaniu  
produktu leczniczego romiplostym (Nplate®) w ramach programu  
zdrowotnego Narodowego Funduszu Zdrowia”, jako świadczenia  
gwarantowanego**

**Prezes Agencji rekomenduje** zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „leczenie samoistnej plamicy małopłytkowej przy wykorzystaniu produktu leczniczego romiplostym (Nplate®) w ramach programu zdrowotnego Narodowego Funduszu Zdrowia”, jako świadczenia gwarantowanego.

Prezes Agencji wskazuje warunek realizacji: świadczenie opieki zdrowotnej powinno być realizowane w grupie dorosłych pacjentów z przewlekłą samoistną (idiopatyczną) plamicą małopłytkową, u których wykonano splenektomię, i którzy wykazują niedostateczną odpowiedź na inne sposoby leczenia (np.: terapię kortykosteroidami, immunoglobulinami). Warunek ten jest zgodny z zaproponowanym przez członków Rady Konsultacyjnej.

### **Uzasadnienie**

Choroby rzadkie, jako poważny problem zdrowotny dla społeczeństwa, uznane zostały za obszar priorytetowy działań w zakresie zdrowia publicznego Unii Europejskiej i uzyskały podstawowe znaczenie w programach Unii Europejskiej dotyczących zdrowia i badań naukowych.

Dokonanie oceny technologii medycznych w odniesieniu do leków sierocych jest zagadnieniem trudnym z uwagi na częsty brak leków porównawczych oraz niewielką ilość dostępnych doniesień naukowych, wynikającą z trudności prowadzenia miarodajnych badań na niewielkich populacjach.

Wzrasta przekonanie, że ocena ekonomiczna takich technologii medycznych powinna być tylko jednym z elementów procesu decyzyjnego w zakresie finansowania, w którym należy uwzględnić wybory i preferencje społeczeństwa. Decyzje refundacyjne w odniesieniu do leków sierocych podlegają ocenom ekonomicznym, jak również etycznym.

Samoistna (idiopatyczna) plamica małopłytkowa jest chorobą rzadką, stanowiącą istotny problem kliniczny. Celem leczenia jest utrzymanie liczby płytek krwi na dostatecznie wysokim poziomie, zapobiegającym występowaniu klinicznie istotnych krwawień. Wprowadzenie romiplostymu do schematu leczenia samoistnej plamicy małopłytkowej wiąże się z większym kosztem terapii. W analizie kosztów użyteczności przedstawionej przez podmiot odpowiedzialny wykazano jednakże, że daje lepszy efekt zdrowotny niż terapia standardowa. Efektywność kosztowa zwiększa się, gdy możliwe jest ograniczenie zastosowania terapii doraźnej. Przerwanie terapii romiplostymem prowadzi do nawrotu trombocytopenii.

Pomimo ograniczonej liczby dowodów naukowych efektywność leku należy oceniać w kontekście bezpośredniego zagrożenia życia pacjentów oraz niewielkiej liczby dostępnych opcji terapeutycznych.

Rzeczony świadczenie stanowi jedyną opcję terapeutyczną dla dużej grupy chorych z samoistną płamicą małopłytkową.

Z drugiej strony pewne wątpliwości budzi stosowanie drogiej terapii o nieoszacowanym bezpieczeństwie dla dłuższego horyzontu czasowego. Ostrzeżenia i środki ostrożności dotyczące stosowania romiplostymu obejmują ryzyko wystąpienia hematologicznych działań niepożądanych, ryzyko zwłóknienia szpiku kostnego i wystąpienia nowotworu. Stąd wynika wskazana w rekomendacji konieczność zdefiniowania wąskiej docelowej populacji pacjentów wymagających terapii romiplostymem – pacjentów, dla których brak jest innych opcji terapeutycznych. Realizacja wnioskowanej terapii w ramach programu zdrowotnego zagwarantuje utrzymanie właściwej praktyki klinicznej uwzględniającej wykonywanie splenektomii i umożliwi skuteczniejsze monitorowanie bezpieczeństwa i efektywności leczenia.

Wprowadzenie finansowania wnioskowanego świadczenia opieki zdrowotnej ze środków publicznych w ramach programu zdrowotnego, stanowi odpowiedź na niezaspokojone dotychczas potrzeby zdrowotne grupy chorych, dla których nie ma obecnie dostępnej skutecznej metody leczenia w Polsce.

### **Podstawa przygotowania rekomendacji**

Rekomendacja została wydana zgodnie z art. 31 a-c ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (tj. Dz. U. z 2008 r., Nr 164, poz. 1027 z późn. zm.), na zlecenie Ministra Zdrowia z dnia 21 października 2009 r. (znak pisma: MZ-PLE-460-8365-91/GB/09), (poprzedzone zleceniem z dnia 4 sierpnia 2009 r. (znak pisma: MZ-PLE-460-8365-54/GB/09)), w sprawie wydania rekomendacji Prezesa AOTM dla świadczenia opieki zdrowotnej „leczenie samoistnej płamicy małopłytkowej przy wykorzystaniu produktu leczniczego romiplostym (Nplate®) w ramach terapeutycznego programu zdrowotnego Narodowego Funduszu Zdrowia” w sprawie jego zakwalifikowania jako świadczenia gwarantowanego, wraz z określeniem poziomu finansowania w sposób kwotowy albo procentowy lub sposobu jego finansowania, lub warunków jego realizacji, po uzyskaniu Stanowiska Rady Konsultacyjnej nr 19/06/2010 z dnia 15 marca 2010r. w sprawie zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej „leczenie samoistnej płamicy małopłytkowej przy wykorzystaniu produktu leczniczego romiplostym (Nplate®) w ramach terapeutycznego programu zdrowotnego Narodowego Funduszu Zdrowia” jako świadczenia gwarantowanego.