



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 201/2018 z dnia 6 sierpnia 2018 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Revolade (eltrombopag) we wskazaniu: anemia aplastyczna postać ciężka (ICD10: D61.3)

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Revolade (eltrombopag), tabletki á 25 mg oraz 50 mg, we wskazaniu: anemia aplastyczna postać ciężka (ICD10: D61.3).

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Anemia aplastyczna to niewydolność szpiku powstała w następstwie jego hipoplazji lub aplazji, prowadząca do pancytopenii. Zapadalność roczną szacuje się na 2-6/1 mln. Ponieważ jest to choroba autoimmunologiczna leczenie przyczynowe polega na alogenicznym przeszczepieniu komórek macierzystych, leczeniu immunosupresyjnym z zastosowaniem globuliny antylimfocytowej (ALG) lub antytymocytowej (ATG), zwykle razem z cyklosporyną (CsA), zastosowaniu cyklofosfamidu w dużych dawkach oraz na podaniu androgenów. Leczenie takie jest skuteczne u 2/3 chorych.

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Eltrombopag będący agonistą receptora dla trombopoetyny zwiększa liczbę płytek krwi i zmniejsza liczbę krwawień, w tym ciężkich krwawień. Okazało się ponadto, że eltrombopag stymuluje pozostałe linie komórkowe i u 40-74% chorych prowadzi do pełnej remisji hematologicznej.

Bezpieczeństwo stosowania

Leczenie to nie ma znaczących działań niepożądanych.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Bardzo wysoka.

Konkurencyjność cenowa

Nie dotyczy.



Wpływ na wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorców

Oszacowany koszt brutto dla płatnika publicznego związany z refundacją 3-miesięcznej terapii produktem leczniczym Revolade wynosi [REDAKTOWANE] dla jednego pacjenta. Przy założeniu, że populacja docelowa mogłaby wynieść ok. 15 osób, koszt refundacji 3-miesięcznej terapii to ok. [REDAKTOWANE].

Alternatywna technologia medyczna, w rozumieniu ustawy o świadczeniach, oraz jej efektywność kliniczna i bezpieczeństwo stosowania

Żadna z alternatywnych technologii wskazywanych w wytycznych nie jest zarejestrowana w Polsce w tym wskazaniu.

Główne argumenty decyzji

Zastosowanie eltrombopagu w anemii aplastycznej może stanowić dla wybranych chorych jedyną szansę na przezwycięzenie tej śmiertelnej choroby. Postępowanie to rekomendują międzynarodowe wytyczne naukowe.

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 2017 r., poz. 1938 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, nr OT.422.27.2018 „Revolade (eltrombopag) we wskazaniu: anemia aplastyczna postać ciężka (ICD10: D61.3). Opracowanie w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych”. Data ukończenia: 31 lipca 2018 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (**Novartis Europharm Limited**).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem **Novartis Europharm Limited** 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, 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 2003 r., Nr 153, poz. 1503 z późn. zm.)

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

Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: **Novartis Europharm Limited**.