

# SOUHRN K HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS274040/2021, datum: 14. 1. 2022

## Hodnocení přípravku a pro jaké použití byl hodnocen

Přípravek NPLATE (obsahující léčivou látku romiplostim) je určený k léčbě primární imunitní trombocytopenie (ITP) u pacientů, kteří jsou refrakterní k jiným způsobům léčby (např. kortikosteroidy, imunoglobuliny). ITP je charakterizována zvýšenou destrukcí krevních destiček a v některých případech nedostatečnou tvorbou krevních destiček. Mezi nejčastější klinické projevy ITP patří krvácení, purpura a únava, které korelují s počtem trombocytů.

V současné době je přípravek hrazen u dospělých pacientů s chronickou ITP po prodělané splenektomii (odstranění sleziny), s chronickou ITP bez splenektomie ve 2. linii léčby, u kterých je chirurgický zákrok kontraindikován a u dětí starších 1 roku s chronickou ITP. Chronická ITP (cITP) je klasifikována při trvání ITP delší než 1 rok.

Nově žadatel požaduje odstranění podmínky splenektomie, které má dle stávajícího indikačního omezení u dospělých pacientů předcházet léčbě romiplostimem a rozšíření úhrady i na dřívější stádium ITP, již v prvním roce po diagnóze, pokud jsou pacienti refrakterní na jiné typy léčby (např. kortikosteroidy, imunoglobuliny), které se podávají v první linii.

## Vyjádření Ústavu k hodnocenému přípravku v dané indikaci

Léčivý přípravek (dále jen „přípravek“) NPLATE je parenterálně účinný agonista trombopoetinového receptoru (TPO), což vede ke zvýšené produkci trombocytů. Léčivý přípravek NPLATE byl zhodnocen jako terapeuticky zaměnitelný (obdobně účinný, bezpečný a se stejnou pozicí v léčbě) jako již hrazený přípravek REVOLADE (obsahující léčivou látku eltrombopag). V části indikačního omezení populace dospělých pacientů s chronickou ITP bez splenektomie nebylo prokázáno, že stanovení podmínek úhrady přípravku NPLATE nepovede k nárůstu prostředků z veřejného zdravotního pojištění. Ústavu je známo, že ve správním řízení o změně výše a podmínek úhrady léčivého přípravku REVOLADE, sp. zn. SUKLS201636/2016, byla mezi žadatelem rozhodnutí o registraci léčivého přípravku REVOLADE a plátcí uzavřena smlouva o limitaci nákladů na terapeuticky zaměnitelný léčivý přípravek kvůli rozšíření indikačního omezení, respektive odstranění podmínky splenektomie. Taková dohoda nebyla v předmětném řízení zatím předložena, proto Ústav nestanovil úhradu pro skupinu pacientů s cITP bez splenektomie.

V části indikačního omezení eITP (pacienti v 1. roce léčby ITP) dospěl Ústav na základě odborného hodnocení k závěru, že klinická data o účinnosti a bezpečnosti romiplostimu u pacientů s ITP již v prvním roce po diagnóze ITP existují, ale zatím jsou nedostatečná z hlediska požadavků na kvalitu těchto důkazů pro potřeby současné klinické praxe založené na důkazech a pro stanovení úhrady z prostředků veřejného zdravotního pojištění.

Vzhledem k nejistotám a limitacím v klinických podkladech k účinnosti přípravku Ústav neposuzoval navazující předložené farmakoekonomické analýzy pro skupinu pacientů s eITP.

Na základě výše uvedeného Ústav uzavírá, že stávající podmínky úhrady přípravku NPLATE nebudou změněny.

## Na základě jakých podkladů Ústav uvedené stanovisko vydává

Ústav posoudil klinické i ekonomické aspekty zařazení přípravku NPLATE do systému úhrad. Zohlednil odborné podklady z klinických studií, které předložila farmaceutická společnost uvádějící přípravek na český trh. Dále vzal Ústav v potaz aktuální zahraniční i české doporučené postupy k terapii ITP.

## Co to znamená pro pacienty a lékaře?

Léčivému přípravku NPLATE **nebude v další fázi správního řízení rozšířena úhrada (pro pacienty v prvním roce léčby po diagnóze ITP obecně = pacienti eITP, kteří jsou refrakterní k jiným způsobům léčby) a léčivý přípravek nebude z prostředků veřejného zdravotního pojištění pro tyto skupiny pacientů standardně hrazen, pokud žádný z účastníků řízení (farmaceutická společnost nebo zdravotní pojišťovny) nepředloží zásadní nový důkaz, který by odborné posouzení změnil.**

Léčivému přípravku DOPTelet **bude v další fázi správního řízení odstraněna podmínka prodělané splenektomie z podmínek úhrady (pacienti s cITP),** pokud Ústav obdrží vyjádření všech zdravotních pojišťoven, že přípravek NPLATE splňuje podmínku srovnatelných či nižších nákladů i v případě zohlednění reálných nákladů na přípravek REVOLADE.

## Správní řízení

Spisová značka: SUKLS274040/2021

## Léčivý přípravek a žadatel

Žadatel: Amgen Europe B.V.

Zástupce: Amgen s.r.o.

Léčivá látka a cesta podání: romiplostim, injekce

ATC: B02BX04

Léčivý přípravek:

Kód SÚKL	Název léčivého přípravku	Doplňek názvu
0167449	NPLATE	250MCG INJ PSO LQF 1+1X0,72ML ISP

Držitel rozhodnutí o registraci / výrobce / dovozce: Amgen Europe B.V.

Posuzovaná indikace: léčba chronické imunitní trombocytopenie u pacientů, kteří jsou refrakterní k jiným způsobům léčby

## Stanovisko k žádosti

U dospělých pacientů s cITP je možné přínos léčby romiplostimem považovat za obdobný u splenektomovaných i nesplenektomovaných. Ústavu je z úřední činnosti známo, že u terapeuticky zaměnitelného přípravku REVOLADE byla mezi držitelem registrace léčivého přípravku REVOLADE a plátcí uzavřena smlouva o limitaci nákladů na terapeuticky zaměnitelný léčivý přípravek kvůli rozšíření indikačního omezení, respektive odstranění podmínky splenektomie.

Bez předložení důkazů od účastníků řízení, že smluvní ujednání uzavřená s žadatelem zajistí limitaci nákladů na předmětný přípravek NPLATE ve stejné výši, jako pro terapeuticky zaměnitelný léčivý přípravek REVOLADE, nelze považovat dopad na rozpočet u pacientů bez splenektomie za neutrální.

Klinické důkazy pro průkaz účinnosti a bezpečnosti romiplostimu u dospělých pacientů v prvním roce léčby po diagnóze ITP (eITP), považuje Ústav za nedostatečné (pro účely stanovení úhrady ze zdravotního pojištění), a proto úhrada v této indikaci nebude stanovena.

Vzhledem k výše uvedenému je hodnocení žadatelem předložených farmakoekonomických analýz pro eITP bezpředmětné.

### Zařazení do skupiny v zásadě terapeutických LP nebo PZLÚ

Léčivý přípravek byl posouzen terapeuticky zaměnitelný s již hrazeným přípravkem REVOLADE (eltrombopag) a zařazený do skupiny v zásadě terapeuticky zaměnitelných přípravků s obsahem agonistů trombopoetinových receptorů.

K léčivému přípravku nebyla identifikována srovnatelně účinná a nákladově efektivní terapie.

### Maximální cena

Nebyla předmětem tohoto správního řízení.

### Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

30,0000 mcg/den

### Úhrada ze zdravotního pojištění

Úhrada z prostředků veřejného zdravotního pojištění je stanovena trvalá následovně:

Kód SÚKL	Název léčivého přípravku	Doplňek názvu	Návrh žadatele: jádrová úhrada / balení (Kč)	Stanovisko Ústavu: jádrová úhrada / balení (Kč)	Úhrada pro konečného spotřebitele / balení (Kč)	Stávající maximální úhrada/balení (Kč)
0167449	NPLATE	250MCG INJ PSO LQF 1+1X0,72ML ISP	13 282,06	<b>13 282,06</b>	15 183,36	15 183,36

Základní úhrada se odvíjí od základní úhrady fixované v rámci periodické revize systému úhrad skupiny v zásadě terapeuticky zaměnitelných přípravků s obsahem agonistů trombopoetinových receptorů (referenčním přípravkem je LP REVOLADE 50MG TBL FLM 28).

## Podmínky úhrady

Podmínky úhrady nejsou obsahově změněny a jsou stanoveny následovně:

**S**

**P:** Přípravek je hrazen v terapii:

- 1) chronické formy imunitní trombocytopenie u dospělých pacientů po prodělané splenektomii, kteří jsou refrakterní k jiným způsobům léčby (jako např. kortikosteroidy, imunoglobuliny)
- 2) chronické formy imunitní trombocytopenie u dospělých pacientů bez splenektomie ve 2. linii léčby, u kterých je chirurgický zákrok kontraindikován.
- 3) chronické formy imunitní trombocytopenie u dětí starších 1 roku, které jsou refrakterní k jiným způsobům léčby (jako např. kortikosteroidy, imunoglobuliny).

Pokud Ústav obdrží vyjádření všech zdravotních pojišťoven, že přípravek NPLATE splňuje podmínku srovnatelných či nižších nákladů i v případě zohlednění reálných nákladů na přípravek REVOLADE, Ústav podmínku splenektomie u dospělých pacientů z indikačního omezení odstraní, tj. podmínky úhrady budou stanoveny následovně:

**S**

**P:** *Přípravek je hrazen v terapii:*

- 1) *chronické formy imunitní trombocytopenie u dospělých pacientů, kteří jsou refrakterní k jiným způsobům léčby (jako např. kortikosteroidy, imunoglobuliny)*
- 2) *chronické formy imunitní trombocytopenie u dětí starších 1 roku, které jsou refrakterní k jiným způsobům léčby (jako např. kortikosteroidy, imunoglobuliny).*