

RELATÓRIO PÚBLICO DE AVALIAÇÃO

REVOLADE (ELTROMBOPAG)

Tratamento de doentes pediátricos com idade igual ou superior a 1 ano com trombocitopenia imune (PTI) primária com duração de 6 meses ou mais após o diagnóstico e que são refratários a outros tratamentos (por ex. corticosteroides, imunoglobulinas)

Avaliação do financiamento ao abrigo do Decreto-Lei n.º 97/2015, de 1 de junho, na sua redação atual.

01/04/2025

DATA DA DECISÃO DE DEFERIMENTO: 21/03/2025

CARACTERÍSTICAS DO MEDICAMENTO:

DCI (denominação comum internacional): Eltrombopag

Nome do medicamento: Revolade

Apresentações:

28 Unidades, comprimido revestido por película, 25 mg, nº registo 5280904

28 Unidades, comprimido revestido por película, 50 mg, nº registo 5280920

28 Unidades, comprimido revestido por película, 75 mg, nº registo 5581970

30 saquetas, pó para suspensão oral, 25 mg, nº registo 5678941

Titular da AIM: Novartis Europharm Limited

SUMÁRIO DA AVALIAÇÃO

INDICAÇÃO TERAPÊUTICA FINANCIADA: Tratamento de doentes pediátricos com idade igual ou superior a 1 ano com trombocitopenia imune (PTI) primária com duração de 6 meses ou mais após o diagnóstico e que são refratários a outros tratamentos (por ex. corticosteroides, imunoglobulinas).

RESUMO DA AVALIAÇÃO FARMACOTERAPÊUTICA:

O medicamento Revolade (eltrombopag) foi sujeito a avaliação para efeitos de financiamento público para *tratamento de doentes pediátricos com idade igual ou superior a 1 ano com trombocitopenia imune (PTI) primária com duração de 6 meses ou mais após o diagnóstico e que são refratários a outros tratamentos (por ex. corticosteroides, imunoglobulinas).*

Face a terapêutica de suporte, eltrombopag apresenta valor terapêutico acrescentado pelo que se recomenda o seu financiamento.

RESUMO DA AVALIAÇÃO ECONÓMICA:

No âmbito da avaliação económica, do medicamento Revolade (eltrombopag), procedeu-se à análise do impacto orçamental para avaliar os respetivos custos face ao comparador selecionado na avaliação Farmacoterapêutica.

No seguimento desta análise, prosseguiu-se para negociação, de modo a obter condições mais favoráveis para o Serviço Nacional de Saúde.

1. Valor terapêutico acrescentado

Foi avaliado o benefício adicional de eltrombopag no *tratamento de doentes pediátricos com idade igual ou superior a 1 ano com trombocitopenia imune (PTI) primária com duração de 6 meses ou mais após o diagnóstico e que são refratários a outros tratamentos (por ex. corticosteroides, imunoglobulinas).*

Concluiu-se que a evidência submetida demonstrou que eltrombopag, em comparação com terapêutica de suporte, apresenta valor terapêutico acrescentado, em doentes pediátricos com idade igual ou superior a 1 ano com trombocitopenia imune primária que são refratários a outros tratamentos. Pelo que se recomenda que eltrombopag seja financiado nesta população ao abrigo da legislação em vigor.

Estas conclusões baseiam-se nos seguintes factos:

- Um estudo de fase 3 (estudo TRA115450 - PETIT2), aleatorizado, multicêntrico que teve lugar em 38 centros, de 12 países (Argentina, República Checa, Alemanha, Hong Kong, Israel, Itália, Rússia, Espanha, Taiwan, Tailândia, Reino Unido, e EUA - Portugal não participou), controlado com placebo, em dupla ocultação (aberto na segunda parte), que aleatorizou 92 doentes, com idades entre 1 e 17 anos, com trombocitopenia imune primária, previamente tratados, que foram aleatorizados, numa relação de 2:1, para eltrombopag (n= 63), ou placebo (n= 29), e que avaliou a eficácia e segurança do eltrombopag durante um período de 13 semanas, mostrou que eltrombopag esteve associado a maior proporção de doentes com resposta (40%), comparativamente com os doentes em placebo (3%), definida a resposta como uma contagem de plaquetas $\geq 50\,000/\mu\text{l}$ (razão de chances: 17,96 [95% IC: 2,29 a 140,93] $p < 0,001$); e menor necessidade de terapêutica de resgate: a proporção de doentes com necessidade de terapêutica de resgate foi, no grupo eltrombopag de 19,0%, em comparação com o grupo placebo que foi de 24,1% (razão de chances: 0,44; IC 95%: 0,21, 0,93; $p=0,032$).

2. Avaliação económica

No âmbito da avaliação económica, do medicamento Revolade (eltrombopag), e com base nos resultados de custo-efetividade incremental e na análise do impacto orçamental para avaliar os respetivos custos face ao comparador selecionado na avaliação Farmacoterapêutica, prosseguiu-se para negociação, de modo a obter condições mais favoráveis para o Serviço Nacional de Saúde.

3. Conclusões

Foi avaliado o benefício adicional de eltrombopag no *tratamento de doentes pediátricos com idade igual ou superior a 1 ano com trombocitopenia imune (PTI) primária com duração de 6 meses ou mais após o diagnóstico e que são refratários a outros tratamentos (por ex. corticosteroides, imunoglobulinas).*

De acordo com os resultados da avaliação farmacoterapêutica e da avaliação económica, e após negociação de melhores condições para o SNS, admite-se a utilização do medicamento em meio hospitalar, tendo em atenção as características específicas do medicamento e da doença em causa, bem como do respetivo impacto orçamental.

A utilização do medicamento pelos hospitais do SNS, foi objeto de um contrato entre o INFARMED, I.P. e o representante do titular de AIM, ao abrigo do disposto no artigo 6.º do Decreto Lei n.º 97/2015, de 1 de junho, na sua redação atual.

4. Referências

Relatório Farmacoterapêutico (Eltrombopag). INFARMED IP. 6 de dezembro de 2024

GlaxoSmithKline. Clinical Study Report. PETIT2. Completion date: 02JAN2014. Date of report: 04NOV2014 / Grainger JD et al. Eltrombopag for children with chronic immune thrombocytopenia (PETIT2): a randomised, multicentre, placebo-controlled trial. Lancet. 2015 Oct 24;386(10004):1649-58. doi: 10.1016/S0140-6736(15)61107-2. Epub 2015 Jul 28. Erratum in: Lancet. 2015 Oct 24;386(10004):1630. doi: 10.1016/S0140-6736(15)00539-5.