



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 179/2019 z dnia 17 czerwca 2019 roku

w sprawie substancji czynnej posaconasolum we wskazaniach pozarejestacyjnych: przewlekła choroba ziarniniakowa charakteryzująca się wysoką częstością grzybiczych zakażeń narządowych; zespół mielodysplastyczny (MDS) u dzieci poniżej 18 roku życia przygotowywanych do przeszczepienia komórek krwiotwórczych; stan po przeszczepieniu krwiotwórczych komórek macierzystych u dzieci poniżej 18 roku życia - wtórna profilaktyka przeciwgrzybicza, ukierunkowana na wcześniej występujące zakażenia grzybicze, do czasu stabilnego wszczepienia i zakończenia leczenia immunosupresyjnego

*Rada Przejrzystości uważa za niezasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną posaconasolum we wskazaniach pozarejestacyjnych: posaconasolum we wskazaniach pozarejestacyjnych: przewlekła choroba ziarniniakowa charakteryzująca się wysoką częstością grzybiczych zakażeń narządowych; zespół mielodysplastyczny (MDS) u dzieci poniżej 18 roku życia przygotowywanych do przeszczepienia komórek krwiotwórczych; stan po przeszczepieniu krwiotwórczych komórek macierzystych u dzieci poniżej 18 roku życia - wtórna profilaktyka przeciwgrzybicza, ukierunkowana na wcześniej występujące zakażenia grzybicze, do czasu stabilnego wszczepienia i zakończenia leczenia immunosupresyjnego.*

*Jednocześnie Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną posaconasolum we wskazaniach pozarejestacyjnych:*

- *przewlekła choroba ziarniniakowa charakteryzująca się wysoką częstością grzybiczych zakażeń narządowych z nietolerancją na flukonazol lub/i itrakonazol,*
- *zespół mielodysplastyczny (MDS) u dzieci powyżej 13 r.ż. przygotowywanych do przeszczepienia komórek krwiotwórczych;*
- *stan po przeszczepieniu krwiotwórczych komórek macierzystych u dzieci powyżej 13 r.ż. z nietolerancją flukonazolu lub/i itrakonazolu - wtórna*



*profilaktyka przeciwgrzybicza, ukierunkowana na wcześniej występujące zakażenia grzybicze, do czasu stabilnego wszczepienia i zakończenia leczenia immunosupresyjnego.*

#### **Uzasadnienie**

*W opinii nr 204/2016. Rada uznała za niezasadne finansowanie ze środków publicznych leku Noxafil (posaconasolum), we wskazaniach innych niż ujęte w charakterystyce produktu leczniczego, tj.:*

- *przewlekła choroba ziarniniakowa charakteryzująca się wysoką częstością grzybiczych zakażeń narządowych;*
- *zespół mielodysplastyczny (MDS) u dzieci poniżej 18 r.ż. przygotowywanych do przeszczepienia komórek krwiotwórczych;*
- *stan po przeszczepieniu krwiotwórczych komórek macierzystych u dzieci poniżej 18 r.ż. - wtórna profilaktyka przeciwgrzybicza, ukierunkowana na wcześniej występujące zakażenia grzybicze, do czasu stabilnego wszczepienia i zakończenia leczenia immunosupresyjnego.*

*Jednocześnie Rada Przejrzystości uznała za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną pozakonazol we wskazaniach innych niż w ChPL, tj.*

- *przewlekła choroba ziarniniakowa charakteryzująca się wysoką częstością grzybiczych zakażeń narządowych z nietolerancją na flukonazol lub/i itrakonazol,*
- *zespół mielodysplastyczny (MDS) u dzieci powyżej 13 r.ż. przygotowywanych do przeszczepienia komórek krwiotwórczych;*
- *stan po przeszczepieniu krwiotwórczych komórek macierzystych u dzieci powyżej 13 r.ż. z nietolerancją flukonazolu lub/i itrakonazolu - wtórna profilaktyka przeciwgrzybicza, ukierunkowana na wcześniej występujące zakażenia grzybicze, do czasu stabilnego wszczepienia i zakończenia leczenia immunosupresyjnego.*

*Ww. opinia Rady Przejrzystości dotyczy leku Noxafil w postaci zawiesiny doustnej (40 mg/ml, 105 ml) finansowanego ze środków publicznych w ramach refundacji aptecznej. Lek ten jest również finansowany w innych wskazaniach w katalogu chemioterapii. Obecnie, zgodnie z obwieszczeniem MZ z dnia 30 kwietnia 2019 roku, jest to jedyny refundowany w Polsce produkt leczniczy zawierający pozakonazol.*

*Wobec braku nowych dowodów naukowych dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa stosowania pozakonazolu w przewlekłej chorobie ziarniniakowej charakteryzującej się wysoką częstością grzybiczych zakażeń narządowych, Rada podtrzymuje swoje wcześniejsze stanowisko.*

**Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 784 z późn. zm.).

Wykorzystane źródła danych:

1. Opracowanie na potrzeby Rady Przejrzystości w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych leków we wskazaniach innych niż ujęte w Charakterystyce Produktu Leczniczego, raport nr: OT.4321.27.2019 oraz aneks do raportu nr: OT.434.35.2016, „Pozakonazol we wskazaniach innych niż określone w ChPL”, data ukończenia: 12 czerwca 2018 r.