



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości nr 303/2019 z dnia 23 września 2019 roku w sprawie substancji czynnej azathioprinum we wskazaniach pozarejestacyjnych

Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną azathioprinum we wskazaniach pozarejestacyjnych: sarkoidoza, śródmiąższowe zapalenie płuc – w przypadkach innych niż określone w ChPL, ziarniniakowe choroby płuc – w przypadkach innych niż określone w ChPL.

Uzasadnienie

Wymieniona substancja czynna była wielokrotnie pozytywnie opiniowana przez Radę Przejrzystości, a opinie Rady pozostają spójne w tym zakresie i jednoznacznie rekomendują finansowanie ww. substancji czynnej. Sarkoidoza jest chorobą ogólnoustrojową, która w przypadku zajęcia wielu narządów może stanowić zagrożenie życia. W przypadku oporności na leczenie glikokortykosteroidami lub konieczności zmniejszenia ich dawek może istnieć potrzeba zastosowania metotreksatu lub azatiopryny.

Ziarniniakowe choroby płuc są niejednorodną grupą, ale standardowym postępowaniem jest leczenie immunosupresyjne, a azatiopryna jest stosowana zarówno w celu uzyskania, jak i podtrzymania remisji. Użyteczność kliniczną azatiopryny we wnioskowanych wskazaniach potwierdzają również wyniki badań (Goljan-Geremek 2014, Vizel 2015, Puechal 2016) oraz opinia ekspertów. W porównaniu do poprzedniej opinii Rady Przejrzystości, nie odnaleziono żadnej nowej rekomendacji towarzystw naukowych, a dotychczasowe potwierdzały zasadność stosowania azatiopryny we wnioskowanych wskazaniach, w przypadku nieskuteczności lub konieczności zmniejszenia dawki kortykosteroidów. Azatiopryna może być również użyteczna klinicznie w leczeniu śródmiąższowych zapaleń płuc, jednak innych niż idiopatyczne włóknienie płuc, w którym jest bezwzględnie przeciwwskazana (Raghu G iwsp. Opinia Rady Przejrzystości AOTMiT nr 332/2016z dnia 21 listopada 2016r.). W odniesieniu do profilu bezpieczeństwa, podkreślić należy, że EMA w 2016 r., w treści informacji o produkcie zawierającym azatioprynę, wskazała na ryzyko mutagenności i nowotworzenia. Aktualne dowody naukowe oraz wytyczne międzynarodowych organizacji medycznych wskazują na istotne zastosowanie



kliniczne produktów leczniczych zawierających ww. substancję czynną, w zakresie wskazań do stosowania i sposobu podawania odmiennych, niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego.

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 oceny zasadności dalszego finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego, aneks do raportu nr: OT.434.56.2016 „Azatiopryna, cyklofosfamid i metotreksat we wskazaniach innych niż określone w ChPL”. Data ukończenia: 18 września 2018 r.
2. Opracowanie na potrzeby oceny zasadności dalszego finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego, raport nr: OT.4321.50.2019 „Azatiopryna i cyklofosfamid we wskazaniu: śródmiąższowe zapalenie płuc – w przypadkach innych niż określone w ChPL”. Data ukończenia: 18.09.2019 r.