



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 304/2019 z dnia 23 września 2019 roku

w sprawie substancji czynnej cyclophosphamidum we wskazaniach pozarejestacyjnych: sarkoidoza, śródmiąższowe zapalenie płuc – w przypadkach innych niż określone w ChPL

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

#### Uzasadnienie

*Sarkoidoza jest chorobą ogólnoustrojową, która w przypadku zajęcia wielu narządów może stanowić zagrożenie życia. Przyczyną zgonu z powodu sarkoidozy jest najczęściej postępująca niewydolność oddechowa, zajęcie OUN lub serca.*

*W przypadku oporności na leczenie glikokortykosteroidami lub konieczności zmniejszenia ich dawek, może istnieć potrzeba zastosowania metotreksatu lub azatiopryny, a wyjątkowo również cyklofosfamidu.*

*Cyklofosfamid może być również użyteczny w leczeniu śródmiąższowych zapaleń płuc, jednak innych niż idiopatyczne włóknienie płuc, w którym jest bezwzględnie przeciwwskazany (Raghu G i wsp. 2015 - Opinia Rady Przejrzystości AOTMiT nr 332/2016z dnia 21 listopada 2016 r.).*

*W porównaniu do poprzedniej opinii Rady Przejrzystości, nie odnaleziono nowych rekomendacji towarzystw naukowych, zaś dotychczasowe potwierdzały zasadność stosowania cyklofosfamidu we wnioskowanych wskazaniach, w przypadku nieskuteczności lub konieczności zmniejszenia dawki glikokortykosteroidów.*

#### 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.