



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 109/2019 z dnia 15 kwietnia 2019 roku
w sprawie substancji czynnej sirolimusum we wskazaniach
pozarejestacyjnych: stwardnienie guzowate;
limfangioleiomiomatoza; nowotwór z epithelioidnych
komórek przynaczyniowych

Rada Przejrzystości uważa za zasadną dalszą refundację leków zawierających substancję czynną sirolimusum we wskazaniach pozarejestacyjnych: stwardnienie guzowate; limfangioleiomiomatoza; nowotwór z epithelioidnych komórek przynaczyniowych.

Uzasadnienie

Wymieniony wyżej zakres wskazań pozarejestacyjnych został już pozytywnie zaopiniowany, ostatnio w Opinii Rady Przejrzystości nr 144/2016 z dnia 16 maja 2016 roku, w sprawie zasadności objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną sirolimusum, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania lub sposobu podawania odmiennych niż określone w charakterystyce produktu leczniczego.

W aktualnych europejskich i amerykańskich wytycznych klinicznych stwierdzono, że stosowanie inhibitorów mTOR, w tym sirolimusu, jest dopuszczalne i często rekomendowane w leczeniu złośliwych okołonaczyniowych nowotworów z komórek nabłonkowych (PEComas) i limfangioleiomiomatozy. Rekomendacje sformułowano w oparciu głównie o spójne wyniki badań przedklinicznych, wyniki małych retrospektywnych badań kohortowych oraz wyniki badań z zastosowaniem ewerolimusu (analog rapamycyny/sirolimusu). Wyniki badań, które ukazały się po wydaniu poprzedniej opinii Rady, są zgodne z wcześniejszymi obserwacjami i tym samym potwierdzają zasadność utrzymania finansowania sirolimusum w wyżej wymienionych wskazaniach.



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 2016 r., poz. 1536 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 „SIROLIMUSUM we wskazaniach: stwardnienie guzowate; limfangioleiomiomatoza; nowotwór z epithelioidalnych komórek przynaczyniowych”, aneks do raportu nr: OT.434.21.2016, data ukończenia: kwiecień 2019 r.