



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 19/2019 z dnia 14 stycznia 2019 roku
w sprawie substancji czynnej voriconazolum we wskazaniach
pozarejestacyjnych: profilaktyka inwazyjnych zakażeń grzybiczych
u pacjentów wysokiego ryzyka z zespołami przebiegającymi
z niedoborami odporności

Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną voriconazolum we wskazaniach pozarejestacyjnych: profilaktyka inwazyjnych zakażeń grzybiczych u pacjentów wysokiego ryzyka z zespołami przebiegającymi z niedoborami odporności.

Uzasadnienie

Rada Przejrzystości opiniowała w 2015 i 2016 roku zasadność objęcia refundacją voriconazolum w wyżej wymienionych wskazaniach pozarejestacyjnych i przyjęła opinie negatywne (233/2015 i 54/2016). Opinię Rada uzasadniała słabością dowodów naukowych, niejednoznacznymi zaleceniami towarzystw naukowych oraz niedużego doświadczenia praktycznego. W wyniku przeprowadzonej aktualizacji danych odnaleziono nowe dane dotyczące zastosowania worykonazolu we wnioskowanym wskazaniu pozarejestacyjnym.

*Europejskie wytyczne ESCMID-ECMM-ERS z 2017 r. dotyczące diagnostyki i postępowania w przypadku chorób wywołanych przez grzyby z rodzaju *Aspergilla* wskazują na zasadność zastosowania worykonazolu w profilaktyce pierwotnej u pacjentów hematoonkologicznych (np. ostrą białaczką mieloblastyczną z głęboką i przedłużającą się neutropenią) oraz u pacjentów, którzy są biorcami allogenicznymi przeszczepów HSCT. Podobnie w przypadku biorców przeszczepów narządowych preferowana jest profilaktyka przeciwgrzybicza poprzez zastosowanie m.in. worykonazolu.*

U dzieci z grupy wysokiego ryzyka wystąpienia aspergilozy (na przykład z nawracającą lub zdiagnozowaną de novo białaczką, zespołami niewydolności szpiku kostnego z głęboką i przedłużającą się neutropenią) w profilaktyce pierwotnej zaleca się stosowanie azoli, a po przeszczepieniu płuc – zaleca się, podobnie jak u dorosłych, stosowanie worykonazolu. W profilaktyce wtórnej u dzieci w przypadkach po allogenicznym przeszczepie HSCT również zalecany



jest worykonazol. Worykonazol jest również zalecany w profilaktyce wtórnej inwazyjnych zakażeń aspergillozą w następujących populacjach: biorcy allogenicznego przeszczepów HSCT (w tym w fazie przed i po przeszczepieniu), przypadki choroby przeszczep przeciwko gospodarzowi ze zwiększoną immunosupresją, osoby z grupy wysokiego ryzyka z nawracającą lub zdiagnozowaną de novo białaczką, zespołami niewydolności szpiku kostnego z głęboką i przedłużającą się neutropenią.

Wyniki przeglądu Rosanova opublikowanego w 2018 wskazują, że worykonazol stosowany w profilaktyce zakażeń grzybiczych u pacjentów hematologiczno-onkologicznych był równie skuteczny jak inne zastosowane leki o profilu bezpieczeństwa zbliżonym do placebo. Wytyczne dotyczące zasad opieki nad osobami zakażonymi HIV, zarówno polskie jak i zagraniczne (WHO 2018), nie wymieniają możliwości zastosowania worykonazolu w ramach profilaktyki przeciwgrzybiczej u pacjentów z HIV.

Zdaniem Rady rekomendacje kliniczne ESCMID-ECMM-ERS 2017, które pojawiły się od czasu przyjęcia wcześniejszych opinii Rady, uzasadniają pozytywną rekomendację finansowania worykonazolu w omawianych wskazaniach.

Dostępność generycznych preparatów worykonazolu spowodowała istotne, wielokrotne obniżenie kosztów leczenia tym preparatem.

.....
Prof. dr n med. Michał Myśliwiec

Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości

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 Rady Przejrzystości w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych leków we wskazaniach innych niż ujęte w Charakterystyce Produktu Leczniczego, raport nr: OT.4321.36.2018, data ukończenia: 9 styczeń 2019 r.