



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 339/2019 z dnia 21 października 2019 roku

w sprawie substancji czynnej mycophenolas mofetil we wskazaniach pozarejestacyjnych: choroby autoimmunizacyjne u pacjentów z niedoborami odporności; cytopenie w przebiegu autoimmunizacyjnego zespołu limfoproliferacyjnego

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną mycophenolas mofetil we wskazaniach pozarejestacyjnych: choroby autoimmunizacyjne u pacjentów z niedoborami odporności; cytopenie w przebiegu autoimmunizacyjnego zespołu limfoproliferacyjnego.

Uzasadnienie

Wymieniona substancja czynna została pozytywnie zaopiniowana przez Radę Przejrzystości 21 listopada 2016 r. (ORP nr 339/2016). W wyniku przeprowadzonego wyszukiwania nie odnaleziono nowych wytycznych klinicznych. Od czasu wydania poprzedniej opinii nie ukazały się żadne istotne publikacje mogące mieć wpływ na istotną zmianę jej treści. U pacjentów z niedoborami odporności, zarówno pierwotnymi, jak też spowodowanymi działaniem czynników zewnętrznych lub chorobą, obserwuje się zwiększoną liczbę chorób autoimmunizacyjnych przebiegających z cytopeniami, czasem zagrażających życiu. Cytopenie występują też w przebiegu autoimmunizacyjnego zespołu limfoproliferacyjnego (ALPS). Podstawą leczenia tych chorób są glukokortykosteroidy i immunoglobuliny. Mykofenolan mofetylu (MMF) może być stosowany w przypadkach opornych na te leki. Siła dowodów naukowych na skuteczność MMF w omawianych chorobach jest niska, brak rekomendacji i wytycznych klinicznych do stosowania ww. substancji w analizowanym wskazaniu.

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.4321.53.2019 „Mykofenolan mofetylu we wskazaniu: choroby autoimmunizacyjne u osób z niedoborami odporności; cytopenie w przebiegu autoimmunizacyjnego zespołu limfoproliferacyjnego”.
Data ukończenia: 14 października 2019 r.