



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 345/2019 z dnia 21 października 2019 roku
w sprawie substancji czynnej sirolimusum we wskazaniu
pozarejestacyjnym: cytopenie w przebiegu autoimmunizacyjnego
zespołu limfoproliferacyjnego - odporne na stosowanie steroidów
lub przy zbyt nasilonych objawach niepożądanych przewlekłej
steroidoterapii w wysokich dawkach

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną sirolimusum we wskazaniu pozarejestacyjnym: cytopenie w przebiegu autoimmunizacyjnego zespołu limfoproliferacyjnego - odporne na stosowanie steroidów lub przy zbyt nasilonych objawach niepożądanych przewlekłej steroidoterapii w wysokich dawkach.

Uzasadnienie

W wyniku aktualizacji danych, na podstawie których Rada wydała pozytywną opinię w 2016 roku, odnaleziono kolejne dowody wspierające wnioskowanie o zasadności dalszego refundowania sirolimusu we wnioskowanym wskazaniu. Odnaleziono 2 badania opisowe spełniające kryteria włączenia.

W badaniu Bevacqua 2019 zaobserwowano poprawę kliniczną u pacjentów pediatrycznych z autoimmunologicznym zespołem limfoproliferacyjny (ALPS). Nie odnotowano poważnych zdarzeń niepożądanych. Leczenie przerwano w dwóch przypadkach: w jednym przypadku z powodu braku skuteczności i złej tolerancji, a w drugim przypadku z powodu wystąpienia bakteryjnego zapalenia płuc. Autorzy stwierdzają, że stosowanie niskich dawek inhibitorów mTOR może prowadzić do poprawy klinicznej pacjentów jednocześnie zachowując dobry profil bezpieczeństwa.

W opisie dwóch przypadków dzieci leczonych na cytopenie w autoimmunizacyjnym zespole limfoproliferacyjnym przy zastosowaniu syrolimusu (Cayrol 2017) obserwowano szybką odpowiedź w ciągu miesiąca z całkowitym ustąpieniem cytopenii. Nie odnotowano działań niepożądanych. Autorzy stwierdzili, że syrolimus jest skutecznym i bezpiecznym lekiem do kontrolowania dzieci z cytopenią związaną z ALPS.



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.4321.54.2019 „Sirolimus we wskazaniu: cytopenie w przebiegu autoimmunizacyjnego zespołu limfoproliferacyjnego - oporne na stosowanie steroidów lub przy zbyt nasilonych objawach niepożądanych przewlekłej steroidoterapii w wysokich dawkach”. Data ukończenia: 14 października 2019 r.