



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

Opinia Rady Przejrzystości  
nr 33/2019 z dnia 11 lutego 2019 roku  
w sprawie substancji czynnej cyclophosphamidum  
we wskazaniach pozarejestacyjnych: choroby autoimmunizacyjne  
inne niż określone w ChPL; amyloidoza

*Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną cyclophosphamidum we wskazaniach pozarejestacyjnych:*

- choroby autoimmunizacyjne inne niż określone w ChPL;
- amyloidoza.

### Uzasadnienie

*Przedmiotem opinii jest odniesienie się do możliwości przedłużenia stosowania cyklofosfamidu w każdym z preparatów we wskazaniach pozarejestacyjnych czyli głównie:*

- śródmiąższowym zwłóknieniu płuc o różnej etiologii,
- nefropatia w toczeniu rumieniowatym (SLE),
- twardzinie układowej,
- idiopatycznej miopatii zapalnej,
- pęcherzycy zwykłej,
- amyloidozie

*oraz inne choroby autoimmunizacyjne nie ujęte w ChPL dla cyklofosfamidu.*

*Cyklofosfamid w monoterapii lub w skojarzeniu z innymi lekami wchodzi od dawna w skład schematów terapeutycznych stosowanych w leczeniu chorób autoimmunizacyjnych. Badania potwierdziły również jego skuteczność w pierwotnej amyloidozie.*

*Wyniki badań, choć relatywnie niskiej jakości, wskazują na korzyści kliniczne ze stosowania preparatów zawierających cyklofosfamid w skojarzeniu z innymi lekami. Stosowanie cyklofosfamidu w powyższych wskazaniach w schematach wielolekowych jest zgodne z aktualnymi rekomendacjami klinicznymi. Należy również dodać, że jest to lek niezbyt drogi i stosowany w praktyce klinicznej od wielu lat.*



**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 „Azathioprinum we wskazaniu: choroby autoimmunizacyjne inne niż określone w ChPL oraz Cyclophosphamidum we wskazaniu: choroby autoimmunizacyjne”, raport nr: OT.4321.4.2019 (Aneks do raportu nr: AOTMiT-OT-434-8/2016), data ukończenia: 6 lutego 2019 r.
2. Opracowanie na potrzeby oceny zasadności dalszego finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego „Cyclophosphamidum we wskazaniu: amyloidoza”, raport nr: OT.4321.5.2019 (Aneks do raportu nr: BOR.434.3.2016), Data ukończenia: 6 lutego 2019 r.