



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 83/2020 z dnia 20 kwietnia 2020 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną sirolimusum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego tj. angiomatoza

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną sirolimusum we wskazaniach pozarejestacyjnych: angiomatoza.

Uzasadnienie

Angiomatoza jest rzadkim schorzeniem należącym do malformacji naczyniowych, heterogennej grupy różnorodnych zmian zbudowanych z dysplastycznych naczyń, zwykle z dominującym jednym ich rodzajem. Są to zmiany wrodzone, niepodlegające samoistnej inwolucji, które nie mają charakteru proliferacyjnego. Objawy kliniczne zaburzeń naczyniowych obejmują oszpecenie, przewlekły ból, nawracające infekcje, koagulopatię, dysfunkcję narządów, a nawet zgon. W przebiegu choroby obserwuje się pogorszenie objawów i jakości życia. Istnieje także potencjalne ryzyko transformacji zmiany w kierunku nowotworu złośliwego.

W dniu 22 maja 2017 r. Rada Przejrzystości wydała pozytywną opinię w sprawie objęcia refundacją leków zawierających sirolimusum w przypadku angiomatozy. W uzasadnieniu przedstawiono wyniki badań oraz opisy przypadków dotyczących malformacji naczyniowych. Podkreślono przy tym, że są to schorzenia rzadkie, w związku z czym liczba dowodów naukowych dotyczących ich leczenia jest niewielka. Choć brak jest dowodów naukowych ukazujących jednoznacznie skuteczność sirolimusu w angiomatozie, to jednak może on stanowić dodatkową opcję terapeutyczną, gdy inne metody leczenia okażą się nieskuteczne lub niemożliwe. Populacja docelowa w Polsce wynosi do 10 osób w ciągu roku.

W przygotowanym obecnie przez AOTMiT raporcie ponownie nie odnaleziono dowodów naukowych dla zastosowania sirolimusu we wskazaniu angiomatoza. Z tego względu włączono badania przeprowadzone w szerszej populacji, tj. wśród chorych z malformacjami naczyniowymi. Wskazują one na możliwy korzystny



wpływ sirolimusu na jakość życia pacjentów oraz poziom nasilenia objawów anomalii naczyniowych, do których należy angiomatoza. Mowa o dwóch jednoramiennych prospektywnych badaniach pierwotnych: Hammer 2018 i Ozeki 2019. Częściowa odpowiedź na leczenie wystąpiła u wszystkich chorych leczonych w badaniu Hammer 2018 oraz u połowy pacjentów z badania Ozeki 2019. Wyniki wskazują na poprawę jakości życia pacjentów m.in. w zakresie mobilności lub funkcjonowania poszczególnych narządów, redukcji bólu, krwawienia lub sączenia, redukcji lub ustąpienia infekcji.

W przeciwieństwie do wyników badań uwzględnionych w raporcie z 2017 r., w których pojawiły się doniesienia o ciężkich i zagrażających życiu zdarzeniach niepożądanych związanych z działaniem sirolimusu, autorzy publikacji do badań Hammer 2018 i Ozeki 2019 ocenili, że terapia była dobrze tolerowana.

Odnalezione zostały ponadto japońskie rekomendacje Mimura 2017 dotyczące leczenia naczynek i malformacji naczyniowych. Wskazano w nich na doniesienia dotyczące stosowania sirolimusu oraz innych leków u pacjentów z anomaliami limfatycznymi. Zwrócono uwagę, że mimo opisu przypadków odpowiedzi na leczenie farmakologiczne, ocena skuteczności poszczególnych terapii jest utrudniona ze względu na częste stosowanie terapii skojarzonej.

Reasumując, Rada Przejrzystości uznaje za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną sirolimusum w ocenianym wskazaniu.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 784 z późn. zm.), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 1373 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania nr: OT.4321.66.2019 „Sirolimus we wskazaniu: angiomatoza”, data ukończenia 14.04.2020 r.