



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 125/2020 z dnia 25 maja 2020 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną sirolimus w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj. zespół gumiatych zmian barwnikowych

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną sirolimus w wskazaniu pozarejestacyjnym: zespół gumiatych zmian barwnikowych.

Uzasadnienie

Rada Przejrzystości dwukrotnie (w 2015 r. i 2017 r.) wydała negatywne opinie w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych substancji czynnej sirolimus, w wskazaniu innym niż ujęte w charakterystyce produktu leczniczego, tj.: zespół gumiatych zmian barwnikowych.

W ramach aktualizacji do wcześniejszych opracowań Agencji, dotyczących tej technologii (OT-434-18/2015 i OT.434.19.2017), włączono 2 przeglądy systematyczne. Dodatkowo, w ramach wyszukiwania odnaleziono 18 publikacji dotyczących leczenia sirolimusem pacjentów z BRBNS, w tym 10 opisów przypadków (3 abstrakty konferencyjne) i 8 serii przypadków (4 abstrakty konferencyjne), których ze względu na odnalezienie dowodów wyższej jakości nie przedstawiono szczegółowo w opracowaniu.

Uwzględnione w ramach tych przeglądów dowody naukowe są nadal niskiej jakości (opisy i serie przypadków), podobnie jak dowody uwzględnione we wcześniejszych opracowaniach Agencji. Brak jest badań klinicznych dotyczących stosowania sirolimusu.

Nie odnaleziono wytycznych odnośnie do leczenia zespołu gumiatych zmian barwnikowych. Niezbędne są zatem dalsze badania prospektywne, w celu oceny długofalowego efektu i profilu bezpieczeństwa, a także w celu określenia czasu trwania terapii sirolimusem w tej grupie pacjentów.



Zarówno wyniki wcześniejszych analiz klinicznych, jak i obecnej aktualizacji, wskazują jednak, że terapia sirolimusem jest skuteczna w zespole gumiatych zmian barwnikowych, w zakresie m.in. redukcji krwawień, zmian naczyniowych i zwiększenia stężenia hemoglobiny, przy braku lub minimalnych działaniach niepożądanych. W zależności od nasilenia choroby, stosowanie sirolimusu można uznać za leczenie pierwszego rzutu.

Objawy niepożądane o niewielkim nasileniu występowały u 22/23 pacjentów, ale ustępowały po dostosowaniu dawki (Wong 2018).

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2020 r., poz. 357), 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 na potrzeby oceny zasadności dalszego finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr: Opracowanie nr: OT.4321.60.2020 (Aneks do opracowania nr: OT.434.19.2017) Sirolimus w wybranych wskazaniach pozarejestacyjnych: zespół gumiatych zmian barwnikowych".
Data ukończenia: 20.05.2020.