



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

Opinia Rady Przejrzystości  
nr 170/2021 z dnia 15 listopada 2021 roku  
w sprawie refundacji leków zawierających substancję czynną  
mycophenolas mofetil w zakresie wskazań do stosowania  
lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone  
w Charakterystyce Produktu Leczniczego

*Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną mycophenolas mofetil we wskazaniach pozarejestacyjnych: steroidozależny zespół nerczycowy, steroidooporny zespół nerczycowy, cyklosporynozależny zespół nerczycowy, nefropatia toczniowa, zapalenie naczyń, nefropatia IgA, toczeń rumieniowaty układowy, twardzina układowa, stan po przeszczepie kończyny, rogówki, tkanek lub komórek, neuropatia zapalna oraz miopatia zapalna.*

### Uzasadnienie

*W badaniach dla wskazania zespół nerczycowy wskazano na porównywalną skuteczność mykofenolanu mofetylu (MMF) oraz innych stosowanych w tej chorobie leków immunosupresyjnych. Ze względu na różnice w profilu bezpieczeństwa, lek może być przydatny u niektórych pacjentów z zespołem nerczycowym.*

*W nefropatii IgA MMF także może być alternatywą dla glikokortykosteroidów (GSK) lub może być stosowany, gdy choroba postępuje, pomimo leczenia GSK. Niektórzy zaczynają od stosowania MMF u chorych dużego ryzyka, w przypadku współwystępującego białkomoczu i krwinkomoczu. Jednoczesne stosowanie MMF może pozwolić na zmniejszenie dawki GSK.*

*W zapaleniach naczyń MMF może być jedną z opcji leczenia immunosupresyjnego. Może również być alternatywą dla cyklofosfamidu, w zapaleniu naczyń z przeciwciałami ANCA.*

*W nefropatii toczniowej i toczniu rumieniowatym układowym MMF może być lepszym wyborem dla pacjentów młodych oraz chorych z obniżeniem C3 dopełniacza w surowicy krwi.*

*W twardzinie układowej wykazano, że MMF jest, obok cyklofosfamidu, najlepszą terapią i może być preferowaną opcję leczenia, z uwagi na profil bezpieczeństwa.*



*Terapia MMF jest leczeniem z wyboru w upośledzeniu funkcji płuc i zapobieganiu pogorszeniu choroby.*

*Po przeszczepieniu narządów oraz komórek macierzystych układu krwiotwórczego (HSCT) MMF jest powszechnie stosowany. Jest szczególnie przydatny w zapobieganiu chorobie przeszczep przeciwko gospodarzowi po allotransplantacji HSCT.*

*Podsumowując, odnalezione opracowania wtórne i pierwotne sugerują, że MMF jest terapią skuteczną i bezpieczną w leczeniu: zespołu nerczycowego, nefropatii IgA, zapalenia naczyń, nefropatii toczniowej, tocznia rumieniowatego układowego, twardziny układowej i stanu po przeszczepie narządów i tkanek.*

*Nie odnaleziono dowodów na skuteczność i bezpieczeństwo ocenianej interwencji w cyklosporyno-zależnym zespole nerczycowym oraz w neuropatii i miopatii zapalnej, jednak MMF jest brany pod uwagę w przypadkach tych chorób opornych na standardowe leczenie (Up-to-Date in Medicine). W cyklosporyno-zależnym zespole nerczycowym MMF może zmniejszać zapotrzebowanie na GSK i nie jest nefrotoksyczny, w przeciwieństwie do cyklosporyny. W miopatii zapalnej MMF jest wskazany w przypadkach opornych na metotreksat lub azatioprynę oraz u chorych z towarzyszącą śródmiąższową chorobą płuc.*

*Poprzednia opinia Rady nr 343/2018 z dnia 20.12.2018 r. dot. stosowania MMF w powyższych wskazaniach była również pozytywna.*

#### **Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 523), 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 2021 r., poz. 1285 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: OT.4221.28.2021 (Aneks do opracowania nr: OT.4321.18.2018) „Mykofenolan mofetylu we wskazaniach: innych niż określone w ChPL”. Data ukończenia: 10 listopada 2021 r.