



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 41/2022 z dnia 14 marca 2022 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną ciclosporinum 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 ciclosporinum we wskazaniach pozarejestacyjnych: aplazja lub hipoplazja szpiku kostnego; białaczka z dużych granularnych limfocytów T; wybiórcza aplazja układu czerwonokrwinkowego; zespół aktywacji makrofagów; zespół hemofagocytowy małopłytkowość oporna na leczenie; zespół mielodysplastyczny – leczenie paliatywne; stan po przeszczepie kończyny, rogówki, tkanek lub komórek.*

#### Uzasadnienie

*Opinia dotyczy substancji czynnej cyklosporyna we wskazaniach innych niż określone w CHPL:*

- *aplazja lub hipoplazja szpiku kostnego;*
- *białaczka z dużych granularnych limfocytów T;*
- *wybiórcza aplazja układu czerwonokrwinkowego;*
- *zespół aktywacji makrofagów;*
- *zespół hemofagocytowy;*
- *małopłytkowość oporna na leczenie;*
- *zespół mielodysplastyczny – leczenie paliatywne;*
- *stan po przeszczepie kończyny, rogówki, tkanek lub komórek.*

*Rada Przejrzystości wydała w roku 2019 pozytywną opinię (nr 115/2019) dotyczącą refundacji cyklosporyny w powyższych wskazaniach.*

*Wyniki wybranych badań i wytycznych klinicznych opublikowanych po dacie wydania poprzedniej opinii potwierdzają skuteczność cyklosporyny we wnioskowanych wskazaniach. Wyjątkiem jest stosowanie cyklosporyny we wskazaniu zespół hemofagocytowy spowodowany zakażeniem, w którym jej*



*zastosowanie w stosunku do dożylnych immunoglobulin zwiększa śmiertelność. Nie wykazano takiej zależności w zespole hemofagocytowym z innych przyczyn.*

*Główne argumenty decyzji*

*Odnalezione badania naukowe i wytyczne kliniczne wskazują na skuteczność i bezpieczeństwo stosowania cyklosporyny w ocenianych wskazaniach.*

**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 finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr: OT.4220.11.2022 „Cyklosporyna we wskazaniach: aplazja lub hipoplazja szpiku kostnego; białaczka z dużych granularnych limfocytów T; wybiórcza aplazja układu czerwonekrwinkowego; zespół aktywacji makrofagów; zespół hemofagocytowy małopłytkowość oporna na leczenie; zespół mielodysplastyczny – leczenie paliatywne; stan po przeszczepie kończyny, rogówki, tkanek lub komórek”, data ukończenia: 11 marzec 2022 r.