



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 64/2022 z dnia 2 maja 2022 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

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną sirolimusum we wskazaniu pozarejestacyjnym: zespół Klippel- Trénaunay.

Uzasadnienie

Opinia Rady Przejrzystości z roku 2019 dotycząca stosowania sirolimusu była pozytywna.

Zespół Klippela-Trénaunaya wymaga multidyscyplinarnego podejścia, a terapia ukierunkowana jest na leczenie objawowe. Zmiany naczyniowe występujące u pacjentów z KTS mają zróżnicowany charakter i niemożliwe jest wskazanie jednolitej ścieżki terapeutycznej. Nowe dowody naukowe wskazane w aktualizowanym opracowaniu AOTMiT, dotyczące skuteczności i bezpieczeństwa stosowania sirolimusumu, potwierdzają skuteczność we wnioskowanym wskazaniu. Lek wymieniany jest w wytycznych amerykańskiej Grupy roboczej ds. zespołu Klippela-Trénaunaya (KTS Working Group 2016). Uwzględniając powyższe, Rada uznaje za zasadne kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną sirolimusum we wnioskowanym 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 2022 r., poz. 463), 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.4221.27.2022 „Sirolimusum we wskazaniu: zespół Klippel-Trénaunay”, data ukończenia: 29.04.2022 r.

