



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 77/2022 z dnia 16 maja 2022 roku

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

Rada Przejrzystości uznaje za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną posaconazolum, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj.:

- przewlekła choroba ziarniniakowa charakteryzująca się wysoką częstością grzybiczych zakażeń narządowych;
- zespół mielodysplastyczny (MDS) u dzieci powyżej 13 r.ż. przygotowywanych do przeszczepienia komórek krwiotwórczych;
- stan po przeszczepieniu krwiotwórczych komórek macierzystych u dzieci powyżej 13r.ż. - wtórna profilaktyka przeciwgrzybicza, ukierunkowana na wcześniej występujące zakażenia grzybicze, do czasu stabilnego wszczepienia i zakończenia leczenia immunosupresyjnego.

Uzasadnienie

Odnaleziono przegląd Wong 2020 z 3 badania RCT, których kryteria włączenia obejmowały m. in. pacjentów poniżej 18 roku życia. W badaniu Shen 2013 wśród pacjentów stosujących pozakonazol odnotowano mniejszą szansę wystąpienia infekcji grzybiczych niż w przypadku pacjentów stosujących flukonazol (OR = 0,33, CI 95% [0,1; 1,05]), jednak różnica nie osiągnęła istotności statystycznej (p=0,063). W badaniu i przeglądzie nie była wyodrębniona populacja pediatryczna.

Wytyczne kliniczne

Wytyczne polskie z 2020 r., europejskie ECIL-8 2020, ESCMID/ECMM2019 oraz amerykańskie NCCN 2021 rekomendują stosowanie pozakonazolu w profilaktyce przeciwgrzybiczej u pacjentów pediatrycznych po krwiotwórczym przeszczepieniu komórek macierzystych oraz z przewlekłą chorobą ziarniniakową. W wytycznych ASCO2020 wskazuje, że u dzieci starszych >13 r.ż.



można zastosować pozakonazol w ramach profilaktyki przeciwgrzybiczej po allo-HSCT w trakcie immunosupresji, nie należy jednak stosować rutynowo profilaktyki przeciwgrzybiczej u dzieci i młodzieży poddanym auto-HSCT. Dodatkowo wytyczne ESCMID/ECMM 2019 podkreślają brak dowodów na skuteczność i bezpieczeństwo pozakonazolu u pacjentów <13 r.ż. po allo-HSCT w trakcie immunosupresji oraz istnienie danych na temat bezpieczeństwa u dzieci >4 r.ż. dotkniętych przewlekłą chorobą ziarniniakową.

Główne argumenty decyzji

Odnalezione badania naukowe i wytyczne kliniczne wskazują na skuteczności i bezpieczeństwo stosowania pozakonazolu 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 dalszego finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr: OT.4221.21.2022 „Pozakonazol we wskazaniach innych niż określone w ChPL”, data ukończenia: 12 maja 2022 r.