



Opinia Rady Przejrzystości
nr 138/2022 z dnia 12 września 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 wskazaniach pozarejestacyjnych: cytopenie w przebiegu autoimmunizacyjnego zespołu limfoproliferacyjnego – odporne na stosowanie steroidów lub przy zbyt nasilonych objawach niepożądanych przewlekłej steroidoterapii w wysokich dawkach.

Uzasadnienie

Rada Przejrzystości wydała pozytywne rekomendacje dla substancji czynnej syrolimus we wnioskowanym wskazaniu w 2016 i w 2019 roku (decyzje nr 340/2016 i nr 345/2019)

Od daty ostatniej analizy w 2019 roku nie odnaleziono nowych zaleceń towarzystw naukowych odnoszących się do stosowania leku Syrolimus w leczeniu cytopenii u chorych na autoimmunizacyjny zespół limfoproliferacyjny (ALPS). Także nie opublikowano w ostatnich 3 latach wysokiej jakości badań naukowych na temat stosowania leku Syrolimus we wnioskowanym wskazaniu. Odnaleziono jedynie 2 opisy przypadków ALPS, w których podawano lek Syrolimus. Gu et al. 2021 opisał pacjenta z rozpoznaniem w 10. r. ż. ALPS III i potwierdzonym homozygotycznym wariantem mutacji genu kinazy białkowej PRKCD (c.36T>G, p.Y12X) ze splenomegalią, małopłytkowością i niedokrwistością opornymi na kortykosteroidy i immunoglobuliny, u którego obserwowano dobrą odpowiedź kliniczną po 3 miesiącach na dodanie do kortykosteroidów leku Syrolimus w dawce 1,5 mg/m² wraz z oceną jego stężenia we krwi, a następnie doszło do nawrotu objawów po jego odstawieniu.

Gu et al. 2022 opisał 2-letniego pacjenta z ALPS z heterozygotycznym wariantem genu FAS linii zarodkowej (mutacja c.857G > A, p.G286E) objawiającym się limfadenopatią, splenomegalią oraz pancytopenią oporną na leczenie. Stosowanie leku Syrolimus w dawce 1,5 mg/m² spowodowało ustąpienie autoimmunologicznej cytopenii i zmniejszenie śledziony.

W ostatnich 3 latach nie opublikowano nowych danych na temat bezpieczeństwa leku Syrolimus. Dotychczasowe badania nie wskazują na nieakceptowane działania niepożądane leku.

Wobec faktu, że ALPS z oporną na leczenie cytopenią jest bardzo rzadką, ciężką chorobą, w leczeniu której nie ma innej dostępnej w Polsce technologii, Rada podtrzymuje wcześniejszą pozytywną opinię w sprawie refundacji stosowania leku Syrolimus 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: WS.4221.5.2022, Aneks do raportu nr OT.4321.54.2019, „Syrolimus we wskazaniu: cytopenie w przebiegu autoimmunizacyjnego zespołu limfoproliferacyjnego – oporne na stosowanie steroidów lub przy zbyt nasilonych objawach niepożądanych przewlekłej steroidoterapii w wysokich dawkach”. Data ukończenia: 07.09.2022.