



Opinia Rady Przejrzystości

nr 169/2022 z dnia 14 listopada 2022 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną methotrexatum 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 methotrexatum we wskazaniu pozarejestacyjnym: choroby autoimmunizacyjne inne niż określone w ChPL.

Uzasadnienie

Przedmiotem opinii jest ocena zasadności kontynuacji finansowania ze środków publicznych leków zawierających metotreksat we wskazaniu pozarejestacyjnym. W odniesieniu do omawianego wskazania Rada Przejrzystości dwukrotnie pozytywnie opiniowała wymienioną substancję czynną (ORP nr 22/2017 z dnia 23 stycznia 2017 r. oraz ORP nr 417/2019 z dnia 16 grudnia 2019 r.). Niniejsza opinia aktualizuje dane zawarte w poprzednim stanowisku Rady.

W wytycznych praktyki klinicznej znaleziono następujące zalecenia do stosowania metotreksatu (wyłączając zgodne z zarejestrowanymi wskazaniami):

- 1. W rekomendacjach WSES-AAST 2021 wskazano, że część pacjentów z powikłaniami w przebiegu wrzodziejącego zapalenia okrężnicy będzie wymagać konwencjonalnej terapii immunosupresyjnej, obejmującej m.in. metotreksat.*
- 2. W rekomendacjach ERN RARE-LIVER / IAIHG 2020 (Lohse 2020) wskazano, że metotreksat jest zalecany jako jedna z terapii stosowanych w III linii leczenia autoimmunizacyjnych chorób wątroby.*
- 3. W rekomendacjach BSR 2021 (Foeldvari 2021) wskazano, że metotreksat, jako ogólnoustrojowe leczenie immunomodulujące, jest zalecany we wczesnej fazie młodzieńczej twardziny układowej.*
- 4. W międzynarodowym konsensusie ekspertów z 2021 r. (Narayanaswam 2021) wskazano, że metotreksat można rozważyć jako preparat umożliwiający redukcję dawki steroidów u pacjentów z uogólnioną miastenią, którzy nie*

tolerowali lub nie zareagowali na inne preparaty umożliwiające redukcję dawki steroidów.

- 5. W międzynarodowych wytycznych KDIGO 2021, dotyczących postępowania w chorobach kłębuszków nerkowych, zalecono rozważenie zastosowania metotreksatu w leczeniu podtrzymującym zapalenia naczyń związanego z ANCA (AAV, ANCA-associated vasculitis), u pacjentów u których był zastosowany w indukcji lub pacjentów z nietolerancją azatiopryny i mykofenolanu mofetilu.*

W aktualnym przeglądzie wytycznych klinicznych nie odnaleziono rekomendacji dotyczących możliwości stosowania metotreksatu w innych chorobach autoimmunizacyjnych, takich jak: pęcherzyca zwykła, choroby hematologiczne (tj. niedokrwistość autoimmunohemolityczna, pierwotna małopłytkowość idiopatyczna), stwardnienie rozsiane, autoimmunizacyjne choroby tarczycy, czy cukrzyca typu 1.

Od wydania poprzedniej opinii nie pojawiły się nowe dowody naukowe wskazujące na konieczność zmiany dotychczasowego wnioskowania. Metotreksat jest stosowany w chorobach autoimmunizacyjnych, w tym chorobach autoimmunizacyjnych innych niż określone w ChPL, a jego skuteczność i bezpieczeństwo różni się w zależności od danej jednostki chorobowej.

Uwzględniając powyższe, Rada podtrzymuje poprzednio wyrażone opinie.

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.4221.44.2022 (Aneks do raportów nr: OT.4321.48.2019 i OT.434.61.2016)

„Metotreksat we wskazaniu: choroby autoimmunizacyjne inne niż określone w ChPL”. Data ukończenia:
8.11.2022 r.