



Opinia Rady Przejrzystości  
nr 33/2023 z dnia 6 marca 2023 roku  
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających  
substancję czynną dornasum alfa we wskazaniu pozarejstracyjnym:  
pierwotna dyskineza rzęsek

*Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną dornasum alfa we wskazaniu pozarejstracyjnym: pierwotna dyskineza rzęsek.*

**Uzasadnienie**

*Przedmiotem opinii jest ocena zasadności dalszego finansowania ze środków publicznych leków zawierających dornazę alfa we wskazaniu: pierwotna dyskineza rzęsek (PCD – primary ciliary dyskinesia). Rada Przejrzystości kilkakrotnie pozytywnie opiniowała wymienioną substancję czynną w odniesieniu do ww. wskazania – ostatnia ORP nr 74/2020 z dnia 6 kwietnia 2020 r. Niniejsza opinia stanowi aktualizację danych zawartych w poprzednim stanowisku Rady.*

*PCD to rzadkie, genetycznie heterogenne, pierwotne zaburzenie układu oddechowego charakteryzujące się przewlekłą chorobą górnych i dolnych dróg oddechowych. Obliczana częstość występowania PCD wynosi od 1/15000 do 1/30000 żywych urodzeń i prawdopodobnie jest niedoszacowana. PCD jest chorobą rozpoznawaną rzadko.*

*Dornaza alfa jest rekombinowaną ludzką dezoksyrybonukleazą, wytwarzaną metodami inżynierii genetycznej; jest odpowiednikiem ludzkiego enzymu, hydrolizującego DNA zawarte w plwocinie przez co znacznie zmniejsza jej lepkość. Mimo słabych dowodów naukowych jest ona stosowana w PCD i jest uważana za skuteczną w praktyce klinicznej.*

*W aktualnym przeglądzie wytycznych praktyki klinicznej nie odnaleziono nowych rekomendacji dotyczących zastosowania dornazy alfa we wskazaniu pierwotna dyskineza rzęsek lub innych danych naukowych wskazujących na konieczność zmiany dotychczasowego wnioskowania.*

*We wcześniejszych opracowaniach AOTMiT przytoczono prace przeglądowe, których autorzy zwracali uwagę na brak wysokiej jakości dowodów naukowych na skuteczność jakiegokolwiek terapii w pierwotnej dyskinezie rzęsek.*

*Zalecane jest elastyczne i zindywidualizowane podejście do pacjenta. Stosowane schematy leczenia oparte są na zaleceniach dotyczących innych przewlekłych chorób płuc, najczęściej mukowiscydozy. W trakcie leczenia powinno się zwracać uwagę na utrzymanie czystości dróg oddechowych, racjonalne wykorzystanie antybiotyków w trakcie występujących infekcji bakteryjnych oraz unikanie szkodliwych czynników zewnętrznych, które mogą prowadzić do zaostrzeń choroby.*

*Podsumowując od wydania poprzedniej opinii nie pojawiły się nowe dowody naukowe wskazujące na konieczność zmiany dotychczasowego wnioskania. Uwzględniając powyższe dane Rada uznaje za zasadne kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną dornasum alfa we wnioskowanym wskazaniu pozarejestacyjnym.*

#### **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. 2555 z późn. zm.), 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 2022 r., poz. 2561 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania Opracowanie na potrzeby oceny zasadności dalszego finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr OT.422.1.20.2023 (Aneks do opracowania nr: OT.4321.65.2019) „Kolistyna, dornaza alfa we wskazaniu: pierwotna dyskineza rzęsek”; data ukończenia 03.03.2023.