



Opinia Rady Przejrzystości

nr 106/2024 z dnia 8 lipca 2024 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną voriconazolum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego tj. profilaktyka inwazyjnych zakażeń grzybiczych

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną voriconazolum we wskazaniach pozarejestacyjnych: "profilaktyka inwazyjnych zakażeń grzybiczych u pacjentów wysokiego ryzyka z zespołami przebiegającymi z niedoborami odporności".

Na podstawie opracowania nr OT.4221.38.2021 w roku 2021 wydano pozytywną Opinię Rady Przejrzystości nr 115/2021 w sprawie zasadności kontynuacji finansowania ze środków publicznych substancji czynnej voriconazolum we wskazaniu pozarejestacyjnym: profilaktyka inwazyjnych zakażeń grzybiczych u pacjentów wysokiego ryzyka z zespołami przebiegającymi z niedoborami odporności. Od tego czasu pojawiły się nowe badania naukowe jak i rekomendacje wskazujące na zasadność stosowania przedmiotowej substancji we wskazaniach innych niż te w Charakterystyce Produktu Leczniczego.

Uzasadnienie

Dowody naukowe:

Badanie wtórne - Boutin 2022, tj. przegląd systematyczny literatury dot. inwazyjnych zakażeń grzybiczych u pacjentów z hematologicznymi zaburzeniami wysokiego ryzyka, którzy stosowali profilaktykę worykonazolem lub pozakonazolem.

Badania pierwotne:

Nguyen 2023 oraz Ostrosky-Zeichner 2022, badania rzeczywistej praktyki klinicznej (RWE) w oparciu dane wielośrodkowego, obserwacyjnego, prospektywnego rejestru w Stanach Zjednoczonych dot. profilaktyki przeciwgrzybiczej z zastosowaniem izawukonazolu, pozakonazolu i worykonazolu u pacjentów z obniżoną odpornością;

Crone 2022, tj. duńskie ogólnokrajowe badanie kohortowe w populacji dorosłych pacjentów >16 r.ż. poddawanych przeszczepieniu płuc w Narodowym Centrum Przeszczepiania Płuc w Kopenhadze, w latach 2010-2019;

Pióro 2022, tj. polskie retrospektywne badanie jednośrodkowe dot. wpływu profilaktyki przeciwgrzybiczej i leczenia wśród dorosłych biorców przeszczepu płuc we wczesnym okresie pooperacyjnym;

Kutluğ 2021, tj. badanie retrospektywne oceniające długoterminową skuteczność profilaktyki worykonazolem u 7 pacjentów z przewlekłą chorobą ziarniniakowa (ang. chronic granulomatous disease);

Avcu 2023, tj. retrospektywne badanie, w którym analizowano dane dotyczące częstości występowania intensywnych zakażeń grzybiczych i efektów profilaktyki przeciwgrzybiczej wśród dzieci z białaczką szpikową.

Rekomendacje kliniczne:

Krajowe wytyczne PTN AIDS 2023 dotyczące zasad opieki nad pacjentami zakażonymi HIV (w leczeniu kandydozy błony śluzowej jamy ustnej, gardła i przetyku u pacjentów zakażonych HIV;

Amerykańskie wytyczne NCCN 2024 dotyczące prewencji i leczenia infekcji związanych z nowotworami;

Niemieckie wytyczne AGIHO / DGHO 2023 dotyczące profilaktyki inwazyjnych chorób grzybiczych u pacjentów z nowotworami hematologicznymi;

Hiszpańskie wytyczne SEOM 2022 dotyczące profilaktyki zakażeń u pacjentów z nowotworami.

Amerykańsko - europejski Panel ekspertów 2023 dotyczący profilaktyki zakażeń grzybiczych u pacjentów ze szpiczakiem mnogim leczonych przeciwciałami bispecyficznymi.

We wszystkich powyższych wytycznych rekomendowano profilaktyczne stosowanie worykonazolu.

Główne argumenty decyzji:

- *rekomendacje naukowe wskazujące na zasadność stosowania w profilaktyce inwazyjnych zakażeń grzybiczych u pacjentów wysokiego ryzyka;*
- *nowe dowody naukowe, potwierdzające skuteczność, publikowane po 2021 roku;*
- *znany profil bezpieczeństwa.*

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2023 r., poz. 826 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 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem opracowania nr: OT.422.1.25.2024 „Voriconazolum we wskazaniu: profilaktyka inwazyjnych zakażeń grzybiczych u pacjentów wysokiego ryzyka z zespołami przebiegającymi z niedoborami odporności”; data ukończenia: 4.07.2024 r. stanowiącego aneks do opracowania OT.4221.38.2021