



Opinia Rady Przejrzystości  
nr 114/2024 z dnia 29 lipca 2024 roku  
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną  
rytuksymab we wskazaniu pozarejestacyjnym: wskazanym  
we wniosku, w ramach programu lekowego B.75.

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną rytuksymab we wskazaniu pozarejestacyjnym: leczenie pacjentów z ziarniniakowatością z zapaleniem naczyń (GPA) lub mikroskopowym zapaleniem naczyń (MPA) w indukcji remisji lub podtrzymaniu remisji postaci choroby o mniejszym nasileniu niż ciężka postać po niepowodzeniu terapii co najmniej jednym lekiem modyfikującym przebieg choroby / lekiem immunosupresyjnym (II lub kolejna linia leczenia), w ramach programu lekowego B.75. „Leczenie pacjentów z układowymi zapaleniami naczyń (ICD-10: M31.3, M31.5, M31.6, M31.7, M31.8)”.*

*Rada zgłasza uwagi do projektu programu lekowego:*

*Rada jest zdania, że w postaciach choroby zapalenia naczyń o mniejszym nasileniu niż ciężka rytuksymab powinien być stosowany:*

- *w indukcji remisji w I linii leczenia,*
- *w podtrzymaniu remisji w II linii leczenia po klasycznych lekach modyfikujących przebieg choroby.*

#### **Uzasadnienie**

##### Problem zdrowotny

*Ziarniniakowatość z zapaleniem naczyń (ang. Granulomatosis with polyangiitis – GPA), zwana dawniej ziarniniakowatością Wegenera, to forma martwiczego zapalenia naczyń krwionośnych.*

*Jest to choroba rzadka, charakteryzująca się stanem zapalnym naczyń krwionośnych, który może ograniczać przepływ krwi i uszkadzać narządy i tkanki. GPA należy do grupy chorób autoimmunologicznych związanych z przeciwciałami przeciwko cytoplazmie neutrofilów (ANCA).*

*GPA jest najczęstszym rodzajem zapaleń naczyń krwionośnych związanych z przeciwciałami ANCA. Szacuje się, że roczna zapadalność na GPA na całym świecie wynosi 10-20 przypadków na milion. Szczyt zachorowalności przypada na wiek od 64 do 75 lat, a ostatnie badania nie wykazały przewagi płci.*

### Problem decyzyjny

*W dotychczas obowiązującej treści programu lekowego nie występuje opcja zastosowania rytuksymabu w indukcji remisji lub podtrzymaniu remisji postaci choroby o mniejszym nasileniu niż ciężka postać, po niepowodzeniu terapii co najmniej jednym lekiem modyfikującym przebieg choroby / lekiem immunosupresyjnym (II lub kolejna linia leczenia).*

### Dowody naukowe

*Badania skuteczności rytuksymabu najczęściej dotyczą pacjentów z ciężkim przebiegiem ziarniniakowatości z zapaleniem naczyń. Dostępne, niezbyt liczne dowody naukowe wskazują, że terapia indukcyjna rytuksymabem daje wyniki porównywalne z cyklofosfamidem. Rytuksymab jest jednak preferowany podczas nawrotów choroby, szczególnie w przypadku uzyskania pozytywnego wyniku PR3 ANCA. Poza tym, stosowanie rytuksymabu zmniejsza ekspozycję na cyklofosfamid i tym samym zmniejsza ryzyko wystąpienia nowotworu złośliwego u pacjentów.*

### Problem ekonomiczny

*Koszt terapii z zastosowaniem rytuksymabu, obejmującej 190 pacjentów już leczonych tym lekiem oraz ok. 120 pacjentów we wskazaniu pozarejestracyjnym, będzie wynosił ok. 2,7 mln PLN rocznie.*

### Główne argumenty decyzji

- *Skuteczność kliniczna,*
- *Stosowanie rytuksymabu zmniejsza ekspozycję na cyklofosfamid i tym samym zmniejsza ryzyko wystąpienia nowotworu złośliwego u pacjentów.*

### **Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 930 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.422.1.32.2024 „rytuksymab we wskazaniu pozarejestracyjnym stosowany w ramach programu lekowego B.75 w leczeniu pacjentów chorych na aktywną postać ziarniniakowatości z zapaleniem naczyń (GPA) lub mikroskopowe zapalenie naczyń (MPA) we wskazaniach: odmiennych niż wskazane w ChPL”; data ukończenia 26.07.2024 r.