



Opinia Rady Przejrzystości

nr 117/2024 z dnia 29 lipca 2024 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną doxazosinum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce

Produktu Leczniczego, tj. przewlekła choroba nerek u dzieci do 18 roku życia; neurogenna dysfunkcja pęcherza u dzieci do 18 roku życia; nieneurogenna dysfunkcja pęcherza u dzieci do 18 roku życia

Rada Przejrzystości uważa za niezasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną doxazosinum (1 mg, 2 mg) we wskazaniu pozarejestacyjnym:

- *przewlekła choroba nerek u dzieci do 18 roku życia.*

Jednocześnie Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną doxazosinum (1 mg, 2 mg) we wskazaniach pozarejestacyjnych:

- *neurogenna dysfunkcja pęcherza u dzieci do 18 roku życia;*
- *nieneurogenna dysfunkcja pęcherza u dzieci do 18 roku życia.*

Uzasadnienie

Przedmiotem wniosku jest ocena zasadności dalszego finansowania doksazosyny we wskazaniach pozarejestacyjnych (off-label): przewlekła choroba nerek u dzieci do 18 roku życia; neurogenna dysfunkcja pęcherza u dzieci do 18 roku życia; nieneurogenna dysfunkcja pęcherza u dzieci do 18 roku życia. W opinii z roku 2018 (321/2018) Rada Przejrzystości uznała finansowanie doksazosyny za niezasadne w pierwszym ze wskazań, a zasadne w dwóch pozostałych. W opinii z roku 2021 (125/2021) Rada Przejrzystości uznała finansowanie doksazosyny za zasadne we wszystkich ww. wskazaniach.

W ramach przeprowadzonej aktualizacji wyszukiwania nie odnaleziono dowodów naukowych spełniających kryteria włączenia do przeglądu, zarówno we wskazaniu przewlekła choroba nerek do 18 roku życia, jak i we wskazaniu neurogenna lub nieneurogenna dysfunkcja pęcherza do 18 roku życia. Również w opracowaniu z 2021 nie odnaleziono takich dowodów naukowych.

W przypadku przewlekłej choroby nerek (PChN) nie odnaleziono wytycznych opublikowanych od 2021 r., w których sformułowano zalecenia odnośnie do stosowania doksazosyny.

W odnalezionych wytycznych dotyczących neurogennej/nieneurogennej dysfunkcji pęcherza opublikowanych od 2021 r. nie sformułowano zaleceń odnośnie do stosowania doksazosyny. Wytyczne EAU 2024 wskazują jedynie, że leki należące do grupy antagonistów receptorów alfa-adrenergicznych (w tym doksazosyna i chlorowodorek tamsulosyny) mogą ułatwiać opróżnianie pęcherza u dzieci z pęcherzem neurogennym.

Główne argumenty decyzji:

- *Brak dowodów naukowych na skuteczność doksazosyny w przewlekłej chorobie nerek u dzieci do 18 roku życia,*
- *wytyczne międzynarodowe dot. stosowania doksazosyny w dysfunkcji pęcherza.*

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.422.1.27.2024 „Doxazosinum we wskazaniach innych niż określone w ChPL: przewlekła choroba nerek u dzieci do 18 roku życia; neurogenna dysfunkcja pęcherza u dzieci do 18 roku życia; nieneurogenna dysfunkcja pęcherza u dzieci do 18 roku życia”; data ukończenia: 25.07.2024 r., stanowiącego aneks do opracowania nr: OT.4221.15.2021.