



Opinia Rady Przejrzystości
nr 143/2024 z dnia 2 września 2024 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną
azathioprinum 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 azathioprinum we wskazaniach pozarejestacyjnych:

- *nieswoiste zapalenie jelit inne niż o podłożu autoimmunizacyjnym – u dzieci do 18 roku życia;*
- *nefropatia IgA inna niż o podłożu autoimmunizacyjnym – u dzieci do 18 roku życia;*
- *zapalenie naczyń inne niż o podłożu autoimmunizacyjnym – u dzieci do 18 roku życia.*

Uzasadnienie:

Niniejsza opinia jest kontynuacją pozytywnej opinii Rady Przejrzystości (138/2021 z dn. 04.10.2021 r.) w sprawie zasadności refundacji azatiopryny w wyżej wymienionych wskazaniach pozarejestacyjnych. W ramach aktualnie przeprowadzonego przeglądu odnaleziono jedynie badania obserwacyjne odnoszące się do oceny bezpieczeństwa zastosowania azatiopryny u pacjentów pediatrycznych z nieswoistą chorobą zapalną jelit. W żadnym z odnalezionych badań nie zgłoszono zdarzeń/działań niepożądanych zagrażających życiu (w tym wystąpienia zgonu).

W ramach jednego wielośrodkowego retrospektywnego badania obserwacyjnego Lerchova 2022, oceniającego skuteczność zastosowania tiopuryn (azatiopryny lub 6-merkaptopuryny) u pacjentów pediatrycznych z chorobą Leśniowskiego-Crohna wykazano istotne statystycznie zmniejszone ryzyko nawrotu choroby w przypadku zastosowania wyłącznie azatiopryny w perspektywie 8-11 lat $HR=0,441$ [95%CI: (0,223; 0,870)]. Nie stwierdzono natomiast istotnego statystycznie ryzyka nawrotu choroby Leśniowskiego-

Crohna w perspektywie 0-7, 12-14 oraz 15-18 lat. Nie odnaleziono żadnych nowych dowodów naukowych dotyczących efektywności klinicznej azatiopryny u pacjentów do 18 r.ż. z zapaleniem naczyń i nefropatią IgA o podłożach innych niż autoimmunizacyjne, opublikowanych po dacie wydania poprzedniej opinii.

Główne argumenty decyzji:

- *Brak nowych doniesień, lecz wieloletnia praktyka kliniczna uzasadnia celowość i konieczność stosowania w przedmiotowych wskazaniach.*
- *Pozytywne wytyczne kliniczne.*
- *Pozytywne poprzednie stanowiska Rady.*

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 na potrzeby oceny zasadności finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr: OT.422.1.34.2024 (aneks do opracowania nr: OT.4321.14.2021) „Azatiopryna we wskazaniach: nieswoiste zapalenie jelit inne niż o podłożu autoimmunizacyjnym – u dzieci do 18 roku życia; nefropatia IgA inna niż o podłożu autoimmunizacyjnym – u dzieci do 18 roku życia; zapalenie naczyń inne niż o podłożu autoimmunizacyjnym – u dzieci do 18 roku życia”, data ukończenia: 28.08.2024 r.