



## Opinia Rady Przejrzystości

nr 186/2024 z dnia 25 listopada 2024 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną clofarabinum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego tj. histiocytoza z komórek Langerhansa (ICD-10: D76.0), ostra białaczka szpikowa (ICD-10: C92.0)

*Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną clofarabinum we wskazaniach pozarejestacyjnych:*

- *histiocytoza z komórek Langerhansa niesklasyfikowana gdzie indziej – w trzeciej linii leczenia (ICD-10: D76.0),*
- *ostra białaczka szpikowa - u dzieci i młodzieży do ukończenia 18 roku życia, u których zdiagnozowano pierwotnie oporną ostrą białaczkę szpikową lub jej pierwszą wznowę oporną na leczenie II linii oraz u dzieci i młodzieży do ukończenia 18 roku życia, u których stwierdzono drugą wznowę ostrej białaczki szpikowej (ICD-10: C92.0).*

### Uzasadnienie

*W dniu 31 stycznia 2022 roku Rada Przejrzystości wydała pozytywną opinię (nr 15/2022) co do kontynuacji refundacji leków zawierających substancję czynną clofarabinum we wskazaniach pozarejestacyjnych tożsamych z obecnie procedowanym wnioskiem.*

*Od czasu wydania poprzedniej opinii Rady Przejrzystości nie odnaleziono opracowań wtórnych (metaanaliz, przeglądów systematycznych) lub badań pierwotnych dotyczących stosowania klofarabiny we wskazaniu histiocytoza z komórek Langerhansa (LCH). Odnośnie drugiego wskazania pozarejestacyjnego obejmującego leczenie dzieci i młodzieży do ukończenia 18 roku życia, u których zdiagnozowano pierwotnie oporną ostrą białaczkę szpikową lub jej pierwszą wznowę oporną na leczenie II linii oraz dzieci i młodzieży do ukończenia 18 roku życia, u których stwierdzono drugą wznowę ostrej białaczki szpikowej odnaleziono niskiej jakości badanie Ramaswamy 2022*

*retrospektywne, kohortowe. Dodatkowo w badaniu nie przeprowadzono analizy bezpieczeństwa.*

*Zidentyfikowano także nowe wytyczne kliniczne NCI – National Cancer Institute, NCCN – National Comprehensive Cancer Network, ESMO - European Society For Medical Oncology, dotyczące wnioskowanych wskazań, tj. ostra białaczka szpikowa u dzieci i młodzieży do ukończenia 18 roku życia, u których zdiagnozowano pierwotnie oporną ostrą białaczkę szpikową u dzieci oraz z zakresu leczenia histiocytozy z komórek Langerhansa, które wskazują klofarabinę jako jedną z opcji terapeutycznych.*

*Mając powyższe na uwadze, brak jest doniesień naukowych, wskazujących na potrzebę rewizji poprzedniej opinii Rady odnośnie stosowania klofarabiny we wnioskowanych wskazaniach pozarejestacyjnych.*

#### **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.422.1.53.2024 (aneks do opracowania nr OT.4221.4.2022) „Klofarabina we wskazaniach innych niż określone w ChPL”; data ukończenia: 19 listopada 2024 r.