



Opinia Rady Przejrzystości
nr 9/2026 z dnia 26 stycznia 2026 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną
sirolimusum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania,
lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce
Produktu Leczniczego, tj. angiomatoza

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną sirolimusum we wskazaniu pozarejestacyjnym: angiomatoza.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Angiomatozy to choroby rzadkie, charakteryzujące się powstawaniem dużych naczynek o różnych lokalizacjach będących przyczyną, często dotkliwych i uporczywych objawów. Stosowanie sirolimusu wynika z leżącej u ich podstaw mutacji w genie CTC1.

Poprzednia opinia Rady z roku 2023 była pozytywna.

Dowody naukowe

Nowe dowody naukowe dotyczą całej grupy angiomatoz, m.in publikacja Engel ER Pediatr Blood Cancer. 2023 Apr;70(4):e30215. Obejmuje ona 29 pacjentów z różnymi angiomatozami. Leczenie sirolimusem prowadziło czasami do wyleczenia, a prawie zawsze do stabilizacji choroby. Objawy niepożądane leczenia były akceptowalne.

Inne doniesienia, głównie opisy przypadków, potwierdzają te obserwacje.

Aktualizacja wytycznych klinicznych

Nie ma danych prowadzących do zmian wnioskowania.

Aktualnie argumenty za pozytywną decyzją są jeszcze mocniejsze.

Główne argumenty decyzji

Jedyna skuteczna i bezpieczna terapia w groźnych chorobach rzadkich.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 907 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 2025 r. poz. 1461).