



Opinia Rady Przejrzystości

nr 76/2025 z dnia 5 maja 2025 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną posaconazolum 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 posaconazolum we wskazaniach pozarejestacyjnych: C.O.14.c.

- *ostra białaczka limfoblastyczna standardowego lub pośredniego ryzyka – u dzieci do 18 roku życia:*

- *otrzymujących chemioterapię mogącą powodować długotrwałą neutropenię i u których jest duże ryzyko rozwoju inwazyjnych zakażeń grzybiczych;*

- *wtórna profilaktyka przeciwgrzybicza, ukierunkowana na wcześniej występujące zakażenia grzybicze - do czasu zakończenia chemioterapii;*

- *chłoniaki złośliwe - u dzieci do 18 roku życia:*

- *otrzymujących chemioterapię mogącą powodować długotrwałą neutropenię i u których jest duże ryzyko rozwoju inwazyjnych zakażeń grzybiczych;*

- *wtórna profilaktyka przeciwgrzybicza, ukierunkowana na wcześniej występujące zakażenia grzybicze - do czasu zakończenia chemioterapii.*

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Refundacją leków zawierających substancję czynną posaconazolum w ww. wskazaniu była już opiniowana trzykrotnie przez Radę. W Opinii Rady Przejrzystości nr 241/2016 z dnia 8 sierpnia 2016 r. uznano zasadność refundacji, a w Opinii Rady Przejrzystości nr 211/2019 z dnia 17 czerwca 2019 r. i 88/2022 z dnia 6 czerwca 2022 uznano zasadność kontynuacji refundacji.

W ostatniej Opinii Rada Przejrzystości podtrzymała wcześniejsze stanowiska i uznała za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną posaconazolum w ocenianych wskazaniach pozarejestacyjnych.

Dowody naukowe

Od czasu poprzedniej decyzji Rady ukazały się cztery rekomendacje/wytyczne towarzystw naukowych – Cortez 2025 (rekomendacje brazylijskie), DGHO 2022 ECIL (European Conference on Infections in Leukemia) 2024 i 2025.

We wszystkich wytycznych posaconazol wskazany jest jako lek pierwszego rzutu w profilaktyce zakażeń grzybiczych u pacjentów onkologicznych.

Tylko w zaleceniach ECIL 2024 i 2025 znaleziono odniesienie do pacjentów pediatrycznych. Posaconazol rekomendowany jest w profilaktyce u dzieci wysokiego ryzyka zakażenia grzybiczego z ostrą białaczką limfoblastyczną/zespołem mielodysplastycznym (AML/MDS), po transplantacji komórek krwiotwórczych (HCT) i z chorobą GVHD (wskazanie uznane przez EMA w 2021).

Nowe wytyczne nie dają przesłanek do zmiany wnioskowania i zmiany poprzedniej decyzji Rady.

Również w zidentyfikowanych publikacjach dotyczących leczenia posaconazolem, które ukazały się od czasu podjęcia poprzedniej decyzji Rady nie odnaleziono żadnych nowych danych dotyczących bezpieczeństwa i skuteczności leku, które wskazywałyby na konieczność zmiany poprzedniej decyzji.

Główne argumenty decyzji:

Brak nowych danych naukowych oraz wytycznych towarzystw naukowych, które dawałyby podstawę do zmiany poprzednich decyzji 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).